



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/671614/2010
EMA/H/C/000620

Riassunto destinato al pubblico

Macugen pegaptanib

Questo documento è la sintesi di una relazione di valutazione pubblica europea (EPAR) per Macugen. L'EPAR illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Macugen.

Che cos'è Macugen?

Macugen è una soluzione da iniettare nell'occhio che contiene il principio attivo pegaptanib. È disponibile sotto forma di siringa preriempita.

Per che cosa si usa Macugen?

Macugen è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti dalla forma "essudativa" (umida) della degenerazione maculare legata all'età (DMLE).

Queste malattie colpiscono l'area centrale della retina (detta macula) nella parte posteriore dell'occhio.

La macula consente la visione centrale, necessaria per distinguere i dettagli e svolgere operazioni quotidiane come guidare, leggere e riconoscere i volti.

La forma essudativa dell'AMD è provocata dalla crescita anomala di vasi sanguigni sotto la macula, che possono determinare gonfiore e fuoriuscita di fluidi e di sangue. Ciò causa la perdita graduale della parte centrale del campo visivo di una persona.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Macugen?

Macugen deve essere somministrato unicamente da un oftalmologo (oculista), esperto in iniezioni intravitreali (iniezioni effettuate nell'umor vitreo, il fluido gelatinoso contenuto nell'occhio). La siringa



preriemplita contiene una dose superiore a quella raccomandata, quindi alla preparazione dell'iniezione il medico deve espellerne una certa quantità e garantire l'iniezione della dose corretta.

Macugen viene somministrato mediante singola iniezione di 0.3 mg nell'occhio interessato ogni sei settimane. La procedura deve essere eseguita in condizioni sterili. Ciascuna iniezione è preceduta da anestesia locale, per ridurre o prevenire il dolore dell'iniezione. Prima e dopo l'iniezione di Macugen potranno essere instillate nell'occhio anche delle gocce di antibiotico, per prevenire infezioni all'occhio. Poiché Macugen, se somministrato tramite iniezione intravitreale, può provocare un aumento di pressione e causare emorragie oculari, i pazienti devono essere sottoposti ad un adeguato monitoraggio dopo ogni iniezione. Se, dopo due iniezioni, la vista del paziente non migliora, occorre interrompere o rinunciare al trattamento.

Come agisce Macugen?

Il principio attivo di Macugen, pegaptanib, è un "aptamero". Un aptamero è un unico filamento di molecole, dette nucleotidi, concepito per legarsi a una struttura nell'organismo. Pegaptanib è stato pensato per attaccarsi e bloccare una proteina chiamata **fattore di crescita** dell'endotelio **vascolare** (VEGF). Nell'organismo il VEGF induce la crescita dei vasi sanguigni e ne aumenta la permeabilità. Pegaptanib iniettato nell'occhio inibisce il VEGF. Ciò riduce la crescita dei vasi sanguigni nell'occhio e controlla il gonfiore e la fuoriuscita di fluidi.

Quali studi sono stati effettuati su Macugen?

Macugen è stato esaminato in due studi clinici principali durati fino a due anni su un totale di 1 190 pazienti. Ai pazienti è stato somministrato Macugen (0,3 mg, 1 mg o 3 mg) oppure è stata praticata una "finta" iniezione, ossia una procedura analoga all'iniezione di Macugen, ma priva di Macugen e di ago, in cui una siringa viene premuta sull'occhio senza iniettare nulla in realtà. Il parametro principale per valutare l'efficacia è stato la percentuale di pazienti con un peggioramento della vista, misurato in un esame della vista standard, pari a meno di 15 lettere.

Quali benefici ha mostrato Macugen nel corso degli studi?

Dopo un anno di trattamento, circa il 70% dei pazienti trattati con Macugen 0,3 e 1 mg mostrava durante un esame della vista un peggioramento pari a meno di 15 lettere rispetto a circa il 55% di coloro cui era somministrata una finta iniezione. La dose da 3 mg non apportava alcun beneficio ulteriore. Il miglioramento è durato due anni nei pazienti trattati con Macugen.

Qual è il rischio associato a Macugen?

Gli effetti indesiderati più comuni di Macugen (osservati in più di 1 paziente su 10) sono infiammazione della camera anteriore (infiammazione della parte frontale dell'occhio), dolore oculare, aumento della pressione intraoculare (aumento della pressione all'interno dell'occhio), cheratite puntata (piccoli segni sulla superficie dell'occhio) e mosche volanti o opacità nell'umor vitreo (piccole particelle o macchie nel campo visivo). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Macugen, si rimanda al foglio illustrativo.

Occasionalmente, a seguito del trattamento con Macugen, possono manifestarsi endoftalmite (infezione della parte interna dell'occhio) emorragia vitreale (sanguinamento all'interno dell'occhio) e danni alla retina. È importante trattare questo tipo di infezione appena possibile. I sintomi di questa infezione e le istruzioni su cosa fare se si notano tali sintomi sono spiegati nel foglio illustrativo.

Macugen non deve essere somministrato a soggetti ipersensibili (allergici) al pioglitazone o a uno qualsiasi degli altri ingredienti. Non va impiegato nel caso di pazienti con infezioni oculari o perioculari (riguardanti la parte interna degli occhi o quella intorno) accertate o sospette.

Perché è stato approvato Macugen?

Il CHMP ha notato che nei pazienti affetti da AMD essudativa Macugen 0,3 mg ha avuto effetti sulla perdita della vista analoghi a Macugen 1 mg, di conseguenza si è scelto di approvare la dose inferiore. Il CHMP ha deciso che i benefici di Macugen sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro di Macugen?

La ditta che produce Macugen provvederà a fornire istruzioni ai medici (per ridurre al minimo i rischi associati all'iniezione oculare) e ai pazienti (per poter riconoscere qualsiasi effetto indesiderato grave e i casi che richiedono il ricorso immediato al medico).

Altre informazioni su Macugen

Il 31 gennaio 2006 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Macugen, valida in tutta l'Unione europea.

La versione completa dell'EPAR di Macugen può essere consultata sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Macugen, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 08-2012.