



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/750331/2018
EMA/H/C/004584

Namuscla (*mexiletina*)

Sintesi in linguaggio semplice di Namuscla e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Namuscla e per cosa si usa?

Namuscla è un medicinale usato per trattare i sintomi della miotonia (rigidità muscolare) nei bambini di età compresa tra 6 e 11 anni con un peso di almeno 20 kg, negli adolescenti di età compresa tra 12 e 17 anni e negli adulti con disturbi miotonici non distrofici, un gruppo di disturbi muscolari ereditari. "Non distrofici" significa che nei pazienti affetti dalla condizione non si verifica perdita di massa muscolare.

I pazienti con disturbi miotonici non distrofici avvertono rigidità muscolare e dolore perché i loro muscoli sono lenti a rilassarsi dopo la contrazione.

I disturbi miotonici sono "rari" e Namuscla è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 19 novembre 2014. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Come si usa Namuscla?

Namuscla può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica ed è disponibile sotto forma di capsule da assumere per via orale. Negli adulti la dose dipende dall'intensità dei sintomi e dalla risposta del paziente al trattamento. Nei bambini e negli adolescenti la dose dipende dal peso corporeo. I pazienti devono sottoporsi a esami per verificare il funzionamento del cuore sia prima di iniziare sia regolarmente durante tutto il trattamento.

Per maggiori informazioni sull'uso di Namuscla, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Namuscla?

Il principio attivo di Namuscla, mexiletina, agisce bloccando i canali delle cellule muscolari che consentono l'entrata e l'uscita degli ioni di sodio (particelle elettricamente cariche). Questi canali del sodio svolgono un ruolo nella contrazione e nel rilassamento dei muscoli e sono iperattivi nei pazienti

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



con disturbi miotonici, causando contrazioni eccessive e rigidità. Bloccandoli, il medicinale aiuta a ridurre la rigidità che si presenta quando le contrazioni sono prolungate.

Poiché ha un effetto analogo sul muscolo cardiaco, mexiletina è autorizzata nell'UE da molti anni per l'uso in pazienti con anomalie del ritmo cardiaco.

Quali benefici di Namuscla sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio condotto su 25 pazienti con miotonia non distrofica, Namuscla si è dimostrato più efficace del placebo (un trattamento fittizio) nel ridurre la rigidità muscolare.

La rigidità muscolare è stata valutata autonomamente da ciascun paziente prima e dopo il trattamento, attribuendo un punteggio su una scala da 0 a 100 (gravità massima). Dopo 18 giorni di trattamento, il punteggio medio per i pazienti trattati con Namuscla è diminuito da 66 a 24, mentre il punteggio per i pazienti trattati con placebo è sceso da 75 a 66.

La ditta ha inoltre fornito dati di supporto tratti dalla letteratura sull'efficacia di Namuscla.

Un secondo studio è stato condotto su 12 bambini e adolescenti di età compresa tra 6 e 17 anni con miotonia non distrofica, tutti trattati con Namuscla. Dopo 8 settimane di trattamento, tutti hanno mostrato un miglioramento dei punteggi relativi a rigidità, dolore e affaticamento. In questo studio Namuscla non è stato confrontato con placebo o con un altro trattamento.

Gli studi effettuati con Namuscla sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Namuscla?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Namuscla, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Namuscla (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono dolore addominale, vertigini e insonnia (difficoltà a dormire).

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. Tra gli effetti indesiderati gravi, i più frequenti (che possono riguardare fino a 1 persona su 10 000) comprendono aritmie (disturbi del ritmo cardiaco) e reazione da farmaco con eosinofilia e sintomi sistemici (DRESS), una reazione grave a carico della pelle, del sangue e degli organi interni.

Namuscla non deve essere usato nei pazienti con ipersensibilità (allergia) al principio attivo, mexiletina, a qualsiasi altro ingrediente del medicinale o ad anestetici locali (medicinali che bloccano la sensibilità, utilizzati per prevenire il dolore in una parte del corpo). Inoltre Namuscla non deve essere utilizzato in pazienti con vari problemi cardiaci o in concomitanza con determinati medicinali.

Perché Namuscla è autorizzato nell'UE?

Namuscla si è dimostrato efficace nell'alleviare i sintomi della miotonia negli adulti e nei bambini e adolescenti a partire dai 6 anni di età con disturbi miotonici non distrofici, migliorando così la loro qualità di vita. Il profilo di sicurezza di Namuscla è ben noto e i suoi effetti indesiderati a carico del cuore sono ritenuti gestibili mediante limitazioni nell'uso e monitoraggio durante il trattamento.

L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Namuscla sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Namuscla?

La ditta che commercializza Namuscla fornirà materiale formativo per i medici e una scheda di allerta per il paziente con informazioni importanti sui rischi associati al medicinale, in particolare il rischio di aritmie.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Namuscla sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Namuscla sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Namuscla sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Namuscla

Namuscla ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 18 dicembre 2018.

Ulteriori informazioni su Namuscla, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Namuscla.

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'[autorità nazionale competente](#).

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 04-2026.