



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/698040/2021
EMA/H/C/003860

Nucala (*mepolizumab*)

Sintesi di Nucala e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Nucala e per cosa si usa?

Nucala è usato per il trattamento delle seguenti affezioni:

- un particolare tipo di asma chiamato asma eosinofilo in pazienti di età pari o superiore a 6 anni. È utilizzato in associazione ad altri medicinali in pazienti con asma grave e non adeguatamente controllato con trattamenti precedenti;
- rinosinusite cronica grave con polipi nasali (infiammazione del rivestimento del naso e dei seni con rigonfiamenti nel naso) negli adulti. È utilizzato in associazione a un corticosteroide somministrato nel naso quando il corticosteroide assunto per via orale o per iniezione, con o senza intervento chirurgico, non è sufficientemente efficace;
- granulomatosi eosinofila con poliangerite (EGPA), una malattia **che causa vasculite (infiammazione dei vasi sanguigni) in polmoni, cuore, intestino e nervi e che può determinare** asma, sinusite cronica e livelli elevati di un tipo di globuli bianchi denominati eosinofili. È usato in associazione ad altri medicinali in pazienti di età pari o superiore a 6 anni nei quali la EGPA è recidivante-remittente o non è adeguatamente controllata con trattamenti precedenti. "Recidivante-remittente" significa che vi sono riacutizzazioni dei sintomi (recidive) seguite da periodi di recupero (remissioni);
- sindrome ipereosinofila (HES), una malattia in cui gli eosinofili iniziano a crescere senza controllo. È utilizzato in associazione ad altri medicinali in adulti nei quali la malattia non è adeguatamente controllata con trattamenti precedenti e nei casi in cui la malattia è legata a un'anomalia del sangue o non ha una causa evidente.

Il principio attivo di Nucala è mepolizumab.

Come si usa Nucala?

Nucala può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e deve essere prescritto da un medico esperto nell'identificazione e nel trattamento dell'asma eosinofilo grave, della rinosinusite cronica con polipi nasali, della HES o della EGPA.

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



Il medicinale è somministrato mediante iniezione sottocutanea nella parte superiore del braccio, nella coscia o nell'addome (pancia) una volta ogni 4 settimane. La dose raccomandata dipende dall'uso e dall'età del paziente. Nucala è destinato al trattamento a lungo termine. Il medico deve valutare con cadenza annuale la necessità di proseguire la terapia.

Nucala è disponibile sotto forma di soluzione in una penna o siringa preriempita o in polvere contenuta in una fiala per la preparazione di un'iniezione. La penna e la siringa preriempita possono essere utilizzate dal paziente e dal prestatore di cure una volta che abbiano ricevuto le relative istruzioni, mentre la fiala deve essere usata esclusivamente da un operatore sanitario. Per maggiori informazioni sull'uso di Nucala, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Nucala?

I sintomi di asma eosinofilo, rinosinusite cronica con polipi nasali, EGPA e HES sono associati all'eccessiva presenza di eosinofili nel sangue e nel muco di polmoni, naso e seni nasali. Il principio attivo di Nucala, mepolizumab, è un tipo di proteina chiamata anticorpo monoclonale, capace di legarsi a una specifica sostanza nell'organismo. Mepolizumab si lega a una sostanza denominata interleuchina-5, che favorisce la produzione e la sopravvivenza degli eosinofili. Legandosi all'interleuchina-5, mepolizumab ne blocca l'azione, riducendo così il numero di eosinofili. Ciò contribuisce ad alleviare l'infiammazione, con conseguente miglioramento dei sintomi.

Quali benefici di Nucala sono stati evidenziati negli studi?

Asma eosinofilo

I benefici di Nucala nell'asma eosinofilo grave non adeguatamente controllato con trattamenti precedenti sono stati dimostrati in tre studi principali, nei quali il medicinale è stato confrontato con un'iniezione di placebo (trattamento fittizio). Il primo studio è stato condotto su 616 adulti e adolescenti, ai quali Nucala è stato somministrato ogni 4 settimane per un anno, in aggiunta alla regolare terapia per l'asma. Il secondo studio è stato condotto su 576 adulti e adolescenti, ai quali Nucala è stato somministrato ogni 4 settimane per 28 settimane. La misura principale dell'efficacia in questi studi era il numero di attacchi gravi (riacutizzazioni) di asma verificatisi durante il trattamento, che si sono ridotti di circa la metà nei pazienti trattati con Nucala.

Il terzo studio è stato condotto su 135 pazienti per lo più adulti con asma eosinofilo sufficientemente grave da richiedere una regolare terapia per via orale con corticosteroidi; la misura principale dell'efficacia era l'entità della riduzione della dose di corticosteroidi resa possibile dall'uso di Nucala per 24 settimane rispetto a placebo. Dei pazienti trattati con Nucala, più della metà (37 su 69) hanno potuto ridurre la dose giornaliera di corticosteroidi di oltre il 50 %, fino a una dose pari o inferiore a 5 mg, e 10 hanno potuto interrompere completamente l'assunzione di corticosteroidi, rispetto a circa un terzo dei pazienti trattati con placebo (22 su 66, di cui 5 hanno potuto interrompere l'assunzione di corticosteroidi).

Uno studio aggiuntivo è stato condotto su bambini di età compresa tra 6 e 11 anni, nel quale una dose di 40 mg di Nucala somministrata per via sottocutanea ha prodotto livelli di principio attivo nell'organismo comparabili a quelli osservati con dosi standard negli adulti. Anche la riduzione dei livelli di eosinofili nel sangue raggiunta nei bambini era comparabile a quella rilevata con le dosi standard negli adulti.

Rinosinusite cronica grave con polipi nasali

Nucala è stato studiato in 407 pazienti con rinosinusite cronica grave con polipi nasali. La misura principale dell'efficacia era basata sulla dimensione dei polipi misurata dal punteggio dei polipi nasali, che varia da 0 a 8 (laddove 0 segnala l'assenza di polipi e 4 la presenza di polipi di grandi dimensioni), e sull'ostruzione nasale misurata dal sistema di valutazione dei sintomi VAS, che varia da 0 (assenza di ostruzione) a 10 (ostruzione completa). Nei pazienti trattati con Nucala il punteggio dei polipi nasali è migliorato di 1,0 punti dopo 52 settimane di trattamento, rispetto a 0 nei pazienti trattati con placebo. L'ostruzione nasale è migliorata di 4,4 punti con Nucala, rispetto a 0,82 con placebo.

Granulomatosi eosinofila con poliangiite

Nucala è stato studiato in 136 pazienti che hanno ricevuto il trattamento standard in aggiunta a Nucala o placebo. Dopo 36 e 48 settimane di trattamento, il 32 % (22 su 68) dei pazienti trattati con Nucala ha raggiunto la remissione (assenza di segni e sintomi di vasculite), rispetto al 3 % (2 su 68) dei pazienti trattati con placebo.

Sindrome ipereosinofilica

In uno studio condotto su 108 pazienti il trattamento con Nucala ha portato a un numero inferiore di riacutizzazioni della malattia. Durante il trattamento con placebo o Nucala per 32 settimane, 15 pazienti su 54 (28 %) trattati con Nucala hanno avuto una riacutizzazione, rispetto a 30 pazienti su 54 (56 %) trattati con placebo.

Quali sono i rischi associati a Nucala?

L'effetto indesiderato più comune di Nucala (che può riguardare più di 1 persona su 10) è la cefalea. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni di Nucala, vedere il foglio illustrativo.

Perché Nucala è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Nucala sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE. Negli adulti la riduzione degli attacchi gravi di asma e della conseguente necessità di cure ospedaliere è stata considerata importante e preponderante rispetto al rischio limitato di effetti indesiderati. Inoltre, la riduzione della dose di corticosteroidi è stata ritenuta clinicamente rilevante, date le potenziali complicanze associate al trattamento a lungo termine con tali medicinali. Nei bambini l'asma eosinofilico è raro e i dati disponibili sono pertanto limitati. L'Agenzia ha concluso che, in base ai dati disponibili, Nucala agisce in modo simile negli adulti e nei bambini e che i risultati osservati negli adulti possono quindi essere ritenuti pertinenti anche per i bambini affetti da asma eosinofilico. Nucala ha inoltre mostrato di produrre benefici e di avere un profilo di sicurezza accettabile nei pazienti affetti da rinosinusite cronica con polipi nasali, EGPA o HES, e l'Agenzia ha pertanto raccomandato l'autorizzazione all'immissione in commercio.

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

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

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Nucala sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Nucala sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Nucala

Nucala ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 2 dicembre 2015.

Ulteriori informazioni su Nucala sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nucala.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 10-2021.