

EMA/505987/2015
EMA/H/C/002792

Riassunto destinato al pubblico

Obizur

susoctocog alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Obizur. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Obizur.

Per informazioni pratiche sull'uso di Obizur, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Obizur?

Obizur è un medicinale usato per il trattamento degli episodi emorragici in pazienti adulti con emofilia acquisita, un disturbo della coagulazione causato dallo sviluppo spontaneo di anticorpi che disattivano il fattore VIII. Il fattore VIII è una delle proteine necessarie per la normale coagulazione del sangue.

Obizur contiene il principio attivo susoctocog alfa.

Come si usa Obizur?

Obizur può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere effettuato sotto la supervisione di un medico esperto nella cura dell'emofilia. Obizur è disponibile sotto forma di polvere e solvente, che vengono mescolati assieme per costituire una soluzione per iniezione in vena. La dose e la frequenza della somministrazione, oltre che la durata della terapia, sono aggiustate a seconda delle condizioni del paziente e dei requisiti, oltre che della gravità dell'episodio emorragico. Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

Come agisce Obizur?

I pazienti con emofilia acquisita causata da anticorpi contro il fattore VIII hanno problemi di coagulazione del sangue tra cui emorragie a carico di articolazioni, muscoli o organi interni. Il principio



attivo di Obizur, susoctocog alfa, agisce nell'organismo allo stesso modo del fattore umano VIII, ma possiede una forma leggermente diversa. Di conseguenza, non verrà facilmente riconosciuto dagli anticorpi e può sostituire il fattore umano VIII che è stato inattivato, favorendo la coagulazione ematica e il controllo dell'emorragia.

Quali benefici di Obizur sono stati evidenziati negli studi?

Obizur è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale cui hanno partecipato 28 pazienti adulti con emofilia acquisita provocata da anticorpi contro il fattore VIII, in cui era in corso un grave episodio emorragico. Obizur non è stato confrontato con altri medicinali. La risposta a Obizur era considerata positiva se l'emorragia si interrompeva o veniva ridotta, mentre era considerata negativa se il sanguinamento proseguiva o peggiorava. Tutti i 28 pazienti hanno mostrato una risposta positiva entro 24 ore dall'inizio della terapia con Obizur; in 24 pazienti su 28 il sanguinamento si è interrotto del tutto.

Quali sono i rischi associati a Obizur?

Si possono osservare con Obizur reazioni di ipersensibilità (allergiche), che possono comprendere angioedema (gonfiore dei tessuti sottocutanei), bruciore e irritazione in corrispondenza del sito di iniezione, brividi, rossore, orticaria generalizzata, cefalea, orticaria, ipotensione (riduzione della pressione sanguigna), stanchezza o irrequietezza, nausea o vomito, tachicardia (battito cardiaco accelerato), costrizione toracica, sibilo e vellichio (solletico). In alcuni casi le reazioni possono aggravarsi (anafilassi) ed essere associate a brusche e pericolose diminuzioni della pressione sanguigna. Obizur non deve essere utilizzato in soggetti che hanno avuto una grave reazione allergica a susoctocog alfa, a uno qualsiasi degli altri ingredienti o alla proteina di criceto. I pazienti con emofilia acquisita provocata da anticorpi contro il fattore VIII possono sviluppare anticorpi contro susoctocog alfa.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Obizur, vedere il foglio illustrativo.

Perché Obizur è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Obizur sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il CHMP ha preso atto della mancanza di terapie specifiche per l'emofilia acquisita causata da anticorpi contro il fattore VIII. Dai risultati dello studio principale è emerso che Obizur è efficace nel trattamento di gravi episodi emorragici negli adulti interessati dal disturbo. Per quanto concerne la sicurezza, il comitato è consapevole della possibilità che insorgano reazioni allergiche e si sviluppino anticorpi contro il medicinale, ma ritiene che i benefici del medicinale siano superiori ai suoi effetti negativi.

Obizur è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Obizur a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Obizur?

Poiché Obizur è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Obizur istituirà e gestirà un registro dei pazienti per raccogliere e analizzare dati di breve e lungo termine sull'efficacia e la sicurezza di Obizur in pazienti affetti da emofilia acquisita causata da anticorpi contro il fattore VIII.

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

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Obizur sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Obizur sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, la ditta che commercializza Obizur fornirà a tutti i professionisti sanitari che potrebbero usare il medicinale materiali informativi contenenti informazioni su come calcolare la dose.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#)

Altre informazioni su Obizur

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Obizur consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Obizur, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Obizur è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.