



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006071

Ogsiveo (*nirogacestat*)

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

Cos'è Ogsiveo e per cosa si usa?

Ogsiveo è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da tumori desmoidi in progressione che richiedono un trattamento sistemico (medicinali che entrano nel flusso sanguigno e agiscono sull'intero organismo).

I tumori desmoidi si sviluppano a partire dai tessuti molli di supporto dell'organismo e possono crescere rapidamente danneggiando tessuti e organi circostanti.

I tumori desmoidi in progressione sono rari e Ogsiveo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 17 ottobre 2019. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Ogsiveo contiene il principio attivo nirogacestat.

Come si usa Ogsiveo?

Ogsiveo può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato e monitorato da un medico esperto di terapie oncologiche.

Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse da assumere per via orale due volte al giorno. Il trattamento può proseguire fino a quando il paziente ne trae beneficio e non si verificano effetti indesiderati inaccettabili.

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

Come agisce Ogsiveo?

Il principio attivo di Ogsiveo, nirogacestat, blocca l'attività di un enzima (un tipo di proteina) denominato gamma secretasi. Normalmente questo enzima attiva una proteina detta NOTCH, che si trova sulla superficie cellulare e che favorisce la crescita cellulare.

Bloccando l'enzima gamma secretasi, nirogacestat impedisce l'attivazione della proteina NOTCH rallentando la crescita dei tumori.



Quali benefici di Ogsiveo sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale condotto su 142 persone con tumori desmoidi in progressione, il trattamento con Ogsiveo è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio). La principale misura dell'efficacia era la sopravvivenza senza progressione (il periodo vissuto dalle persone senza peggioramento della malattia).

Sulla base dei dati disponibili, si è constatato che dopo 12 mesi per circa l'85 % dei pazienti trattati con Ogsiveo non è stato riscontrato un peggioramento della malattia o il decesso, rispetto a circa il 53 % di quelli ai quali era stato somministrato placebo.

Inoltre, lo studio ha esaminato l'effetto di Ogsiveo sulle dimensioni dei tumori (tasso di risposta globale). I tumori si sono ridotti in circa il 41 % (29 su 70) dei soggetti che assumevano Ogsiveo, rispetto a circa l'8 % (6 su 72) dei soggetti che assumevano placebo.

Quali sono i rischi associati a Ogsiveo?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Ogsiveo (che possono riguardare più di 4 persone su 10) comprendono diarrea, eruzione cutanea, nausea, stanchezza, ipofosfatemia (bassi livelli di fosfati nel sangue), cefalea, stomatite (infiammazione della mucosa della bocca) e, nelle donne in età fertile, danni alle ovaie.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. Il più comune con Ogsiveo (che può riguardare più di 1 persona su 10) è la menopausa precoce.

Ogsiveo non deve essere usato durante la gravidanza o nelle donne in età fertile che non utilizzano un metodo contraccettivo altamente efficace, né in quelle che allattano al seno.

Perché Ogsiveo è autorizzato nell'UE?

Ogsiveo ha dimostrato di rallentare il peggioramento dei tumori desmoidi in progressione, un'affezione per la quale non vi erano altri medicinali approvati e nessun trattamento standard al momento dell'autorizzazione.

Per quanto riguarda la sicurezza, Ogsiveo può causare danni al feto se assunto durante la gravidanza. Tuttavia, tale rischio è ridotto al minimo mediante l'adozione di misure rigorose, tra cui il requisito di una contraccettione altamente efficace. Sussistono incertezze sul modo in cui Ogsiveo può danneggiare le ovaie e i testicoli e sul suo potenziale effetto sulla fertilità. Tale rischio è menzionato nelle informazioni sul prodotto e la società deve fornire ulteriori dati per un'ulteriore valutazione. Nel complesso, gli effetti indesiderati di Ogsiveo sono considerati accettabili in considerazione della mancanza di opzioni terapeutiche e possono essere gestiti con adeguamenti della dose.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Ogsiveo 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 Ogsiveo?

Per contribuire a garantire un uso sicuro di Ogsiveo, la ditta che commercializza il medicinale deve fornire una guida agli operatori sanitari e una scheda per i pazienti. Questi materiali spiegano che l'assunzione di Ogsiveo durante la gravidanza può danneggiare il feto e forniscono indicazioni su come prevenire tale rischio. Contengono informazioni per gli operatori sanitari e le persone che utilizzano il

medicinale secondo le quali una donna in età fertile, nonché i soggetti di sesso maschile con partner di sesso femminile in età fertile, devono utilizzare metodi contraccettivi altamente efficaci durante il trattamento con Ogsiveo e per una settimana dopo l'ultima dose.

La guida informerà gli operatori sanitari della necessità di un test di gravidanza negativo prima di iniziare il trattamento con Ogsiveo. Inoltre ricorderà loro che Ogsiveo può ridurre l'efficacia dei contraccettivi ormonali. La scheda per i pazienti suggerirà alle donne di contattare immediatamente il medico se sospettano una gravidanza durante il periodo di assunzione di Ogsiveo.

La ditta che commercializza Ogsiveo deve anche ottimizzare la formulazione del medicinale e il modo in cui viene prodotto per garantire che i livelli di impurità restino entro l'intervallo accettabile.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Ogsiveo 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 Ogsiveo sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Ogsiveo sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Ogsiveo

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2025.