



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54220/2026
EMA/H/C/006140

Ojemda (*tovorafenib*)

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

Cos'è Ojemda e per cosa si usa?

Ojemda è un medicinale usato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a sei mesi affetti da glioma (un tipo di tumore del cervello) di basso grado pediatrico. Può essere utilizzato quando il tumore presenta determinate alterazioni del gene *BRAF* (come una fusione o un riarrangiamento di *BRAF* o una mutazione V600) in pazienti la cui malattia è peggiorata nonostante un precedente trattamento con uno o più medicinali sistemici (medicinali che agiscono sull'intero organismo).

Il glioma è raro e Ojemda è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 20 maggio 2021. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Ojemda contiene il principio attivo tovorafenib.

Come si usa Ojemda?

Ojemda può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere avviato e supervisionato da un medico con esperienza nell'uso di medicinali antitumorali. Prima di iniziare il trattamento, i pazienti devono sottoporsi a un test per confermare che le loro cellule tumorali presentano una fusione o un riarrangiamento di *BRAF* oppure una mutazione V600.

Ojemda è disponibile sotto forma di compresse e di polvere da ricostituire in una sospensione orale (un liquido da bere). Deve essere assunto per via orale una volta alla settimana, con o senza cibo.

Il trattamento con Ojemda deve proseguire fino a quando il paziente ne trae beneficio o fino a quando non si verificano effetti indesiderati inaccettabili.

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

Come agisce Ojemda?

Nei pazienti affetti da glioma di basso grado pediatrico il cui tumore presenta determinate alterazioni del gene *BRAF*, tra cui mutazioni *BRAF* V600, fusioni e riarrangiamenti *BRAF*, le proteine RAF

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



provocano la crescita e la moltiplicazione delle cellule tumorali. Il principio attivo di Ojemda, tovorafenib, agisce bloccando le proteine RAF. Agendo su queste proteine, tovorafenib contribuisce a rallentare o interrompere i messaggi all'interno delle cellule che causano la crescita del tumore.

Quali benefici di Ojemda sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha mostrato che Ojemda è efficace nei pazienti con glioma di basso grado pediatrico il cui tumore presentava alterazioni del gene *BRAF* e la cui malattia era peggiorata nonostante un precedente trattamento con uno o più medicinali sistemici.

Lo studio è stato condotto su 77 pazienti e non ha confrontato Ojemda con un altro medicinale o placebo (un trattamento fittizio). Quaranta pazienti (52,6 %) hanno raggiunto una risposta in un determinato momento durante il trattamento settimanale con Ojemda e la risposta è durata in media 18 mesi. Nessun paziente ha ottenuto una risposta completa (scomparsa del tumore e assenza di nuove lesioni), 29 pazienti hanno ottenuto una risposta parziale (riduzione di almeno il 50 % delle dimensioni del tumore e assenza di nuove lesioni) e 11 hanno ottenuto una risposta minore (diminuzione del 25-49 % delle dimensioni del tumore e assenza di nuove lesioni).

Gli studi effettuati con Ojemda sono descritti più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Ojemda?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Ojemda (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono cambiamenti del colore dei capelli, creatinfosfochinasi ematica aumentata (enzima rilasciato nel sangue quando il muscolo è danneggiato), stanchezza, anemia (bassi livelli di globuli rossi), vomito, bassi livelli ematici di fosfati, mal di testa, eruzione cutanea, febbre, ritardo della crescita, secchezza della pelle, livelli aumentati di enzimi epatici (aspartato aminotransferasi e lattato deidrogenasi), nausea, stipsi, infezione delle vie respiratorie superiori (naso e gola), dermatite acneiforme (eruzione cutanea simile all'acne), sanguinamento dal naso, appetito ridotto e paronichia (infezione del letto ungueale).

Perché Ojemda è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione di Ojemda, le opzioni terapeutiche disponibili per i pazienti affetti da glioma di basso grado pediatrico, tra cui intervento chirurgico e chemioterapia, erano limitate. Inoltre, una terapia mirata era disponibile solo per i pazienti i cui tumori presentavano una mutazione V600E di *BRAF* e, dopo tale trattamento, non erano disponibili ulteriori opzioni terapeutiche per i pazienti la cui malattia era peggiorata. Sebbene i dati siano stati ricavati da uno studio in cui Ojemda non è stato confrontato con un altro trattamento, il medicinale si è dimostrato efficace nei pazienti con glioma di basso grado pediatrico il cui tumore presentava alterazioni del gene *BRAF* e la cui malattia era peggiorata nonostante un precedente trattamento con uno o più medicinali sistemici. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati sono stati considerati gestibili con un monitoraggio adeguato e modifiche della dose.

Ojemda ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni per l'uso nell'UE. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia europea per i medicinali ritiene che la disponibilità in

tempi più rapidi del medicinale presenti benefici superiori ai rischi associati all'uso che ne verrà fatto in attesa di ulteriori prove.

La ditta deve fornire ulteriori dati su Ojemda. Deve presentare i risultati finali di uno studio clinico in corso su pazienti con glioma di basso grado pediatrico a partire dai sei mesi di età, confrontando l'efficacia e la sicurezza di Ojemda con la chemioterapia. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

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

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Ojemda 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 Ojemda sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Ojemda sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Ojemda

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

Per informazioni sulla disponibilità di questo medicinale nel proprio paese, contattare l'autorità nazionale competente.