EMA/816327/2017
EMEA/H/C/003918

Riassunto destinato al pubblico

Qarziba [1]

dinutuximab beta

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Qarziba. 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 Qarziba.

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

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

Qarziba è un medicinale antitumorale utilizzato nel trattamento del neuroblastoma, un cancro delle cellule nervose, in pazienti di età superiore a un anno.

Viene utilizzato in due gruppi di pazienti che presentano neuroblastoma ad alto rischio (con un'alta probabilità di recidiva):

- pazienti che hanno mostrato qualche miglioramento con trattamenti precedenti, tra cui trapianto di cellule staminali ematiche (un trapianto di cellule che producono sangue);
- pazienti il cui neuroblastoma non è migliorato con altri trattamenti antitumorali o si è ripresentato.

Nel caso in cui il neuroblastoma si sia ripresentato dopo un trattamento precedente, è opportuno stabilizzarlo (impedire un peggioramento) prima di iniziare il trattamento con Qarziba. In alcuni casi, quando trattamenti precedenti non sono stati abbastanza efficaci, Qarziba è utilizzato insieme a un altro medicinale denominato interleuchina-2 (aldesleuchina).

Poiché il numero di pazienti affetti da neuroblastoma è basso, la malattia è considerata "rara" e Qarziba è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 novembre 2012.

[1] Precedentemente noto come Dinutuximab beta Apeiron and Dinutuximab beta EUSA

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2018. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Il medicinale contiene il principio attivo dinutuximab beta.

Come si usa Qarziba?

Qarziba è somministrato per infusione (flebo) in vena. Ciascun ciclo di trattamento con il medicinale è somministrato per 5 o 10 giorni ogni 35 giorni. È somministrato per un totale di cinque cicli. La dose raccomandata dipende dal peso e dall'altezza del paziente.

In caso di comparsa di taluni effetti indesiderati il medico può decidere di ridurre o posticipare la somministrazione delle dosi o, qualora tali effetti siano gravi, di interrompere il trattamento.

Il trattamento con Qarziba non deve essere iniziato a meno che il paziente non abbia risultati soddisfacenti in determinati esami del sangue riguardanti la funzionalità epatica, polmonare, renale e midollare.

Il trattamento deve essere supervisionato da un medico esperto nel trattamento del cancro. Deve essere somministrato in ospedale da un medico o un infermiere in grado di gestire gravi reazioni allergiche e dove siano immediatamente disponibili i servizi di rianimazione, se necessari. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

Come agisce Qarziba?

Qarziba è un anticorpo monoclonale (un tipo di proteina) concepito per riconoscere e legarsi a una struttura denominata GD2 presente in quantità elevate sulla superficie delle cellule di neuroblastoma, ma non delle cellule normali.

Quando Qarziba si lega alle cellule di neuroblastoma, le rende un bersaglio per il sistema immunitario (le difese naturali) dell'organismo, che quindi uccide le cellule tumorali.

Quali benefici di Qarziba sono stati evidenziati negli studi?

Gli studi hanno dimostrato che Qarziba è efficace nell'aumentare la sopravvivenza in pazienti affetti da neuroblastoma.

Due studi hanno esaminato i dati di 88 bambini e adulti affetti da neuroblastoma che non era regredito mediante altri trattamenti antitumorali o che si era ripresentato. I pazienti sono stati trattati con Qarziba più interleuchina-2 e un altro medicinale denominato isotretinoina. In tali studi, il 70 % e il 78 % dei pazienti il cui neuroblastoma non era regredito mediante altri trattamenti erano ancora in vita due anni dopo il trattamento. Tra i pazienti affetti da neuroblastoma che si era ripresentato, il 42 % e il 69 % erano ancora in vita due anni dopo il trattamento.

In un terzo studio, a 370 bambini affetti da neuroblastoma ad alto rischio che era regredito in seguito ad altri trattamenti sono stati somministrati Qarziba e isotretinoina con o senza interleuchina-2. All'inizio del trattamento alcuni di questi pazienti non presentavano alcun segno di neuroblastoma e alcuni presentavano ancora qualche segno della malattia. Tra i pazienti che non presentavano alcun segno di neuroblastoma, il 71 % era ancora in vita tre anni dopo il trattamento e i risultati erano simili sia che il trattamento includesse interleuchina-2 o meno. Tra i pazienti che presentavano qualche segno di neuroblastoma, il 63 % di coloro a cui era stata somministrata interleuchina-2 era ancora in vita tre anni dopo il trattamento rispetto al 54 % dei pazienti che non aveva ricevuto interleuchina-2.

In questi studi, i risultati con Qarziba sono stati migliori di quelli osservati precedentemente in pazienti trattati per neuroblastoma senza Qarziba.

Quali sono i rischi associati a Qarziba?

Gli effetti indesiderati più comuni di Qarziba (che possono riguardare più di 7 persone su 10) sono piressia (febbre) e dolore. Altri effetti indesiderati (che possono riguardare più di 3 persone su 10) sono ipersensibilità (allergia), vomito, diarrea, sindrome da perdita capillare (perdita di liquido dai vasi sanguigni che può provocare gonfiore e un abbassamento della pressione sanguigna) e ipotensione (pressione sanguigna bassa).

Qarziba non deve essere utilizzato in pazienti affetti da malattia del trapianto contro l'ospite (quando cellule trapiantate attaccano l'organismo) in forma grave o diffusa.

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

Perché Qarziba è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha rilevato l'assenza di opzioni terapeutiche che prevengano una recidiva del neuroblastoma ad alto rischio.

Nel complesso, i dati relativi ai risultati con Qarziba dimostrano che il medicinale è efficace. Occorrono tuttavia ulteriori dati al fine di comprendere a fondo l'efficacia del medicinale.

Sebbene il trattamento con Qarziba possa provocare gravi effetti indesiderati, la sicurezza del medicinale è considerata accettabile.

Il CHMP, pertanto, ha deciso che i benefici di Qarziba sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Qarziba è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Qarziba per motivi etici. Dato che dinutuximab è un trattamento raccomandato per il neuroblastoma ad alto rischio, non sarebbe etico condurre uno studio in cui ad alcuni pazienti fosse somministrato placebo (un trattamento fittizio). 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 Qarziba?

Poiché Qarziba è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Qarziba monitorerà la sicurezza del medicinale sulla base di un registro dei pazienti e fornirà aggiornamenti annuali. La ditta eseguirà inoltre dei test al fine di ottenere ulteriori informazioni sulla modalità di trasformazione del medicinale da parte dell'organismo e sulla modalità di risposta del sistema immunitario al medicinale. La ditta fornirà i risultati di uno studio relativo all'effetto della somministrazione di Qarziba insieme a interleuchina-2. Inoltre, presenterà una relazione sui tassi di sopravvivenza a cinque anni dei pazienti che hanno partecipato agli studi.

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

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

Altre informazioni su Qarziba

L'8 maggio 2017 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Dinutuximab beta Apeiron, valida in tutta l'Unione europea. La denominazione del medicinale è stata cambiata in Dinutuximab beta EUSA il 4 agosto 2017 e in Qarziba il 27 novembre 2017.

Per la versione completa dell'EPAR di Qarziba consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Qarziba, 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 Qarziba è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 12-2017.