



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/554260/2016
EMA/H/C/002739

Riassunto destinato al pubblico

Respreeza

inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano

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

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

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

Respreeza è un medicinale usato negli adulti con deficit di inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano, un disturbo ereditario che può provocare problemi polmonari tra cui crescenti difficoltà respiratorie e che può colpire anche il fegato. Respreeza è usato per rallentare il danno polmonare nei pazienti con deficit grave.

Respreeza contiene il principio attivo inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano.

Come si usa Respreeza?

Respreeza è disponibile come polvere e solvente per la preparazione di una soluzione per infusione (flebo) in vena. La prima infusione deve essere somministrata sotto la supervisione di un operatore sanitario esperto nel trattamento del deficit di inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano. Le successive infusioni possono essere somministrate da chi assiste il paziente o dal paziente stesso.

La dose raccomandata di Respreeza è 60 mg per kg di peso corporeo, somministrata una volta alla settimana. L'infusione deve durare circa 15 minuti.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.



Come agisce Respreeza?

Il principio attivo di Respreeza, l'inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano, è una proteina naturale presente nel sangue, che protegge il tessuto polmonare. È ottenuto da sangue umano e agisce sostituendo la proteina di cui sono privi i pazienti con deficit di inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano.

Quali benefici di Respreeza sono stati evidenziati negli studi?

Respreeza ha dimostrato di rallentare il danno polmonare in uno studio principale cui hanno partecipato 180 pazienti con danno polmonare dovuto a deficit di inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano. In questo studio, Respreeza è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio) e il principale parametro dell'efficacia era la diminuzione della densità polmonare. La densità polmonare è un indicatore dell'entità del danno polmonare: maggiore è la diminuzione della densità polmonare, maggiore è la lesione a carico dei polmoni. La riduzione della densità polmonare a distanza di 24 mesi è stata di circa 2,6 g/l nei pazienti trattati con Respreeza rispetto ai circa 4,2 g/l nei soggetti trattati con placebo.

Quali sono i rischi associati a Respreeza?

Gli effetti indesiderati più comuni di Respreeza (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono capogiri, mal di testa, dispnea (fiato corto) e nausea. Nel corso del trattamento sono state osservate reazioni allergiche, alcune delle quali gravi.

In considerazione del rischio di gravi reazioni allergiche, Respreeza non deve essere usato in pazienti con deficit di IgA, una proteina presente nel sangue, contro la quale hanno sviluppato anticorpi, poiché questi soggetti sono più inclini a manifestare reazioni allergiche. Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati di Respreeza, vedere il foglio illustrativo.

Perché Respreeza è approvato?

Lo studio principale condotto con Respreeza ha dimostrato che il medicinale è efficace nel rallentare il danno polmonare nei pazienti con deficit di inibitore dell'alfa₁-proteinasi umano e questo effetto è stato considerato significativo nei soggetti con deficit grave. Per quanto riguarda la sicurezza, il principale timore correlato all'uso di Respreeza è rappresentato dalle reazioni allergiche; nelle informazioni sul prodotto sono state tuttavia fornite indicazioni su come gestire questo rischio. Non sono emerse altre importanti preoccupazioni relative alla sicurezza del medicinale.

Pertanto, il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Respreeza sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

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

La ditta che commercializza Respreeza effettuerà un nuovo studio per valutare se una dose più elevata (120 mg/kg di peso corporeo) possa offrire maggiori benefici rispetto alla dose attualmente raccomandata.

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

Altre informazioni su Respreeza

Il 20 agosto 2015 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Respreeza, valida in tutta l'Unione europea.

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

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 08-2016.