



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/222172/2025
EMA/H/C/006220

Rezdiffra (*resmetirom*)

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

Cos'è Rezdiffra e per cosa si usa?

Rezdiffra è un medicinale usato in associazione a dieta e attività fisica per il trattamento di adulti affetti da steatoepatite associata a disfunzione metabolica (MASH). La MASH (nota anche come NASH, steatoepatite non alcolica) è una malattia causata dall'accumulo di grasso nel fegato, che provoca infiammazione e danni al fegato. Rezdiffra è usato negli adulti con cicatrizzazione epatica moderata o significativa (fibrosi di stadio 2 o di stadio 3).

Rezdiffra contiene il principio attivo resmetirom.

Come si usa Rezdiffra?

Rezdiffra può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. È disponibile sotto forma di compresse da assumere per via orale una volta al giorno.

Rezdiffra non dovrebbe essere usato in combinazione con medicinali come gemfibrozil che bloccano fortemente gli effetti del CYP2C8, un enzima epatico che aiuta l'organismo a scomporre molti medicinali, in quanto ciò potrebbe incidere sulla degradazione di Rezdiffra. Se Rezdiffra è usato con inibitori moderati del CYP2C8 (come clopidogrel, deferasirox e teriflunomide), la dose deve essere ridotta.

Per maggiori informazioni sull'uso di Rezdiffra, vedere il foglio illustrativo oppure rivolgersi al medico o al farmacista.

Come agisce Rezdiffra?

Nei pazienti affetti da MASH, una proteina denominata recettore beta degli ormoni tiroidei (THR-beta), che contribuisce alla degradazione del grasso, non funziona correttamente. Il principio attivo di Rezdiffra, resmetirom, agisce legandosi a THR-beta e attivandolo nelle cellule epatiche. Attivando THR-beta, il resmetirom aumenta la metabolizzazione del grasso; ciò riduce la quantità di grasso presente nel fegato, che può contribuire a ridurre l'infiammazione e la fibrosi, oltre a migliorare la funzionalità epatica.

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



Quali benefici di Rezdiffra sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha dimostrato che Rezdiffra è efficace nel ridurre i sintomi della MASH e della fibrosi epatica.

Lo studio principale è stato condotto su 917 adulti affetti da MASH e fibrosi epatica di stadio F2 (moderata) o F3 (avanzata), ai quali è stato somministrato Rezdiffra o placebo (un trattamento fittizio) per 12 mesi. Lo studio ha esaminato la percentuale di pazienti con risoluzione dei sintomi di MASH, misurata in base al miglioramento o alla scomparsa dell'infiammazione e del cosiddetto ballooning (danni alle cellule epatiche), senza peggioramento della fibrosi. Lo studio ha inoltre misurato i miglioramenti nella fibrosi dei pazienti senza peggioramento dei sintomi di MASH.

Dopo 12 mesi, a seconda della dose, circa il 26-30% dei pazienti trattati con Rezdiffra ha raggiunto la risoluzione della MASH senza peggioramento della fibrosi, rispetto al 10% dei pazienti ai quali era stato somministrato il placebo. Inoltre circa il 27-29% dei pazienti trattati con Rezdiffra ha mostrato un miglioramento della fibrosi epatica e nessun peggioramento della MASH, rispetto al 17% di coloro ai quali era stato somministrato il placebo.

Quali sono i rischi associati a Rezdiffra?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Rezdiffra (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono diarrea e nausea. La diarrea si verifica tipicamente all'inizio del trattamento, è di entità da lieve a moderata e si risolve, in media, nell'arco di 2-3 settimane.

Il prurito può riguardare fino a 1 persona su 10. Episodi di colecistite (infiammazione della colecisti, spesso causata da calcoli biliari che ostruiscono il dotto biliare) e orticaria (eruzione cutanea pruriginosa) possono riguardare fino a 1 persona su 1 000.

Perché Rezdiffra è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, non vi era alcun trattamento autorizzato per i pazienti affetti da MASH, una malattia associata a sintomi gravi e potenzialmente letali, compresa la cirrosi (cicatrizzazione grave e permanente del fegato) se non trattata. È stato dimostrato che Rezdiffra riduce i sintomi della malattia e della fibrosi, il che è considerato un beneficio significativo per la salute. Non vi sono ancora dati che consentano di stabilire se tali benefici ridurranno la malattia epatica avanzata e la necessità di un trapianto di fegato oppure miglioreranno la sopravvivenza. Tuttavia, per rispondere a queste domande saranno forniti ulteriori dati a lungo termine. In termini di sicurezza, gli effetti indesiderati più frequenti sono accettabili.

Rezdiffra 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 Rezdiffra e presentare ulteriori risultati derivanti da due studi in corso che hanno confrontato Rezdiffra con placebo in pazienti affetti da MASH e fibrosi epatica da moderata a avanzata. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

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

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

Altre informazioni su Rezdiffra

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