



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/471783/2017  
EMA/H/C/004095

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Rydapt

midostaurina

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

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

## Che cos'è e per che cosa si usa Rydapt?

Rydapt è un medicinale antitumorale utilizzato nel trattamento di adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi, un cancro dei globuli bianchi. È utilizzato inizialmente in associazione ad altri medicinali antitumorali (chemioterapia) e, una volta terminata la chemioterapia, in monoterapia se la malattia ha risposto al trattamento. Rydapt è somministrato soltanto nel caso in cui la LMA presenti una particolare mutazione genetica denominata mutazione FLT3.

Rydapt viene inoltre utilizzato in monoterapia in adulti affetti dalle seguenti patologie di un tipo di globuli bianchi noto come mastocita: mastocitosi sistemica aggressiva, mastocitosi sistemica associata a una neoplasia ematologica (cancro del sangue) e leucemia mastocitaria.

Poiché il numero di pazienti affetti da tali malattie è basso, queste sono considerate "rare" e Rydapt è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale usato nelle malattie rare) in diverse date (vedi sotto).

Rydapt contiene il principio attivo midostaurina.

## Come si usa Rydapt?

Rydapt può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato da un medico esperto nell'utilizzo di medicinali antitumorali. Rydapt è disponibile in capsule contenenti

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



25 mg di midostaurina. La dose iniziale consueta è di 50 mg (due capsule) due volte al giorno in presenza di LMA, dal giorno 8 fino al 21 di un ciclo di trattamento di 28 giorni, e poi ogni giorno quando la malattia ha risposto. Il trattamento va protratto fino a un massimo di 12 cicli a seconda della risposta dei pazienti. In presenza di patologie mastocitarie, la dose iniziale è di 100 mg (quattro capsule) due volte al giorno; il trattamento va protratto fino a quando il paziente ne trae beneficio. Se un paziente manifesta determinati effetti indesiderati gravi, il medico può decidere di ridurre le dosi successive, di rinviare o di interrompere il trattamento.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Rydapt?**

Il principio attivo di Rydapt, midostaurina, è un "inibitore della tirosin-chinasi". Ciò significa che blocca l'azione di determinati enzimi noti come recettori delle tirosin-chinasi. In pazienti con una mutazione FLT3, una forma anomala della tirosin-chinasi FLT3 favorisce la sopravvivenza e la crescita di cellule di LMA. Bloccando l'enzima FLT3 anomalo, Rydapt contribuisce a provocare la morte delle cellule anomale e a limitare la diffusione del cancro. Rydapt, inoltre, blocca una forma mutata di un altro enzima, la chinasi KIT, che svolge un ruolo importante nel favorire la crescita anomala dei mastociti in pazienti affetti da patologie mastocitarie.

## **Quali benefici di Rydapt sono stati evidenziati negli studi?**

È stato dimostrato che Rydapt migliora la sopravvivenza nei pazienti con LMA associata a una mutazione FLT3. Uno studio principale, condotto su 717 di tali pazienti, ha messo a confronto Rydapt con placebo (un trattamento fittizio) all'inizio sotto forma di aggiunta ad altri medicinali antitumorali, e successivamente come trattamento con Rydapt o somministrazione di placebo da soli su soggetti la cui malattia ha risposto. Circa il 51 % dei soggetti cui è stato somministrato Rydapt e il 43 % di quelli ai quali è stato somministrato placebo era ancora in vita dopo 5 anni.

Anche un altro studio principale condotto su 116 pazienti con patologie mastocitarie ha evidenziato benefici. Lo studio ha esaminato la risposta al trattamento con Rydapt nei pazienti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva, mastocitosi sistemica associata a cancro del sangue o leucemia mastocitaria. Complessivamente, utilizzando i criteri aggiornati, più rigorosi, la malattia ha risposto al trattamento nel 28 % circa dei pazienti (32 su 113). Se esaminata separatamente, la percentuale di risposta è stata più elevata (60 %) nei soggetti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva.

## **Quali sono i rischi associati a Rydapt?**

Nel trattamento di LMA, gli effetti indesiderati più comuni di Rydapt (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono neutropenia febbrile (febbre e bassa conta di globuli bianchi, osservata in quasi tutti i pazienti), dermatite esfoliativa (infiammazione e desquamazione cutanea), vomito, mal di testa, petecchie (piccolissime macchie di sangue sotto la pelle) e febbre. Gli effetti indesiderati gravi più frequenti sono stati neutropenia febbrile, linfopenia (bassa conta di linfociti, un determinato tipo di globuli bianchi), infezioni nel sito del catetere (un tubicino inserito in una vena), dermatite esfoliativa, livelli elevati di zucchero nel sangue e nausea (sensazione di malessere).

Se utilizzato per le patologie mastocitarie, gli effetti indesiderati più comuni (riguardanti un terzo o più di tutti i pazienti) sono stati nausea, vomito, diarrea, edema periferico (gonfiore alle caviglie e ai piedi) e stanchezza. Gli effetti indesiderati gravi più comuni sono stati stanchezza, sepsi (avvelenamento del sangue), polmonite (infezione polmonare), neutropenia febbrile e diarrea.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Rydapt, vedere il foglio illustrativo.

Rydapt non deve essere somministrato ai pazienti che assumono taluni medicinali che influiscono su come viene gestito nell'organismo. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché Rydapt è approvato?**

È stato dimostrato che Rydapt reca beneficio nei pazienti con LMA associata a una mutazione FTL3. La sicurezza del medicinale, accettabile in una condizione così grave, è stata considerata gestibile.

Nel caso delle patologie mastocitarie sono state inoltre evidenziate prove rilevanti di efficacia. Sebbene Rydapt non sia stato messo a confronto con altri trattamenti, considerando la rarità delle affezioni e le esigenze mediche insoddisfatte dei pazienti che ne sono colpiti, i benefici clinici sono stati chiari e gli effetti indesiderati accettabili.

L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Rydapt 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 Rydapt?**

La ditta che commercializza Rydapt porterà a termine tre studi supplementari per fornire all'Agenzia le prove a sostegno dell'efficacia del medicinale in pazienti anziani con LMA.

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

## **Altre informazioni su Rydapt**

Per la versione completa dell'EPAR di Rydapt consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Rydapt, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

I riassunti del parere del comitato per i medicinali orfani relativi a Rydapt sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

[leucemia mieloide acuta](#)

[mastocitosi](#).