



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/82708/2025
EMA/H/C/006105

Rytelo (*imetelstat*)

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

Cos'è Rytelo e per cosa si usa?

Rytelo è un medicinale usato per il trattamento dell'anemia (bassi livelli di globuli rossi) negli adulti affetti da sindromi mielodisplastiche, un gruppo di affezioni in cui il midollo osseo produce cellule ematiche anomale e un numero troppo esiguo di cellule sane.

Rytelo è usato in pazienti la cui affezione non presenta un'anomalia citogenetica (non-del 5q) con delezione isolata 5q e che hanno bisogno di trasfusioni regolari di sangue e che presentano un rischio da molto basso a intermedio che la loro affezione progredisca in leucemia mieloide acuta (un tumore del sangue). Viene utilizzato in pazienti per i quali l'eritropoietina (un ormone che stimola la produzione di globuli rossi) non è sufficientemente efficace o che non possono essere trattati con eritropoietina.

Le sindromi mielodisplastiche sono rare e Rytelo è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 luglio 2020. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Rytelo contiene il principio attivo imetelstat.

Come si usa Rytelo?

Rytelo è somministrato per infusione (flebo) in vena, di solito per un periodo di circa due ore; viene somministrato una volta ogni quattro settimane. La dose raccomandata dipende dal peso del paziente e può essere aggiustata in caso di effetti indesiderati. Almeno 30 minuti prima di ogni infusione, ai pazienti devono essere somministrati medicinali per prevenire o ridurre i potenziali effetti indesiderati dell'infusione.

Prima di somministrare ogni dose devono essere effettuati un esame emocromocitometrico completo e i test di funzionalità epatica. Dopo le prime due dosi, si raccomanda di eseguire un esame emocromocitometrico ogni settimana. Prima di iniziare il trattamento, le donne in età fertile devono sottoporsi a un test di gravidanza.

Il trattamento deve essere interrotto se la necessità di trasfusioni di sangue non si riduce dopo 24 settimane (sei dosi) o se gli effetti indesiderati diventano inaccettabili.

Rytelo può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere somministrato e monitorato con la supervisione di operatori sanitari esperti nel trattamento delle malattie del sangue.

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



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

Come agisce Rytelo?

Il principio attivo di Rytelo, imetelstat, blocca l'attività di un enzima denominato telomerasi che aiuta le cellule a crescere e dividersi. Bloccando la telomerasi, il medicinale riduce la crescita delle cellule ematiche anomale e ne promuove la morte.

Quali benefici di Rytelo sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale è stato condotto su 178 adulti affetti da sindromi mielodisplastiche che richiedevano trasfusioni regolari di sangue; ai pazienti è stato somministrato Rytelo o placebo (un trattamento fittizio) in aggiunta alle cure di supporto.

Lo studio ha mostrato che 36 pazienti su 118 (30,5 %) trattati con Rytelo non hanno avuto bisogno di una trasfusione di sangue per almeno 8 settimane, rispetto a 6 pazienti su 60 (10 %) che hanno ricevuto placebo.

Quali sono i rischi associati a Rytelo?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Rytelo (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono trombocitopenia (bassi livelli di piastrine, componenti che favoriscono la coagulazione del sangue), neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi che combatte le infezioni), aumento dei livelli degli enzimi epatici (un segno di possibili problemi epatici), stanchezza e mal di testa.

Alcuni effetti indesiderati possono essere gravi. Gli effetti indesiderati gravi più comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono sepsi (quando i batteri e le loro tossine circolano nel sangue con conseguente danno agli organi), infezione delle vie urinarie (infezione delle parti dell'organismo che raccolgono ed eliminano l'urina), fibrillazione atriale (contrazioni irregolari e non coordinate delle camere superiori del cuore), emorragia di varici esofagee (sanguinamento delle vene gonfie nel rivestimento dell'esofago, il tubo che conduce dalla bocca allo stomaco), sincope (svenimento) e trombocitopenia.

Perché Rytelo è autorizzato nell'UE?

Il trattamento con trasfusioni di sangue frequenti può comportare un accumulo di ferro nell'organismo, che può danneggiare gli organi. Rytelo può ridurre la necessità di trasfusioni di sangue in pazienti affetti da sindromi mielodisplastiche, mentre i suoi effetti indesiderati sono considerati gestibili con le misure aggiuntive in atto, quali l'esame emocromocitometrico e il monitoraggio della funzionalità epatica.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Rytelo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

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

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

Altre informazioni su Rytelo

Ulteriori informazioni su Rytelo sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/rytelo.