



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/613753/2022
EMA/H/C/005605

Scemblix (*asciminib*)

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

Cos'è Scemblix e per cosa si usa?

Scemblix è un medicinale antitumorale. È usato nel trattamento della leucemia mieloide cronica (LMC), un tumore dei globuli bianchi, in fase "cronica" (ossia quando la condizione si sviluppa lentamente e il paziente presenta pochi sintomi o nessuno). Il medicinale può essere utilizzato in pazienti adulti con tumore "positivo per il cromosoma Philadelphia" (Ph+). Ph+ significa che due cromosomi del paziente si sono riorganizzati e hanno formato uno speciale cromosoma, detto cromosoma Philadelphia. Questo cromosoma produce un enzima, la chinasi BCR-ABL1, che porta allo sviluppo della leucemia.

Scemblix è usato nei pazienti che sono già stati trattati con due o più medicinali antitumorali denominati inibitori della tirosin-chinasi.

La LMC è rara e Scemblix è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 24 marzo 2020. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: https://www.ema.europa.eu/documents/orphan-designation/eu/3/20/2261-public-summary-opinion-orphan-designation-asciminib-treatment-chronic-myeloid-leukaemia_en.pdf.

Scemblix contiene il principio attivo asciminib.

Come si usa Scemblix?

Scemblix può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento della leucemia.

Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse da assumere per via orale due volte al giorno. Il medico può interrompere il trattamento e ridurre le dosi se si verificano determinati effetti indesiderati. Il trattamento può essere interrotto se il paziente non è in grado di tollerare la dose ridotta.

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

Come agisce Scemblix?

Il principio attivo di Scemblix, asciminib, è un inibitore della tirosin-chinasi (TKI), ossia blocca enzimi noti come tirosin-chinasi. Nella LMC Ph+, l'organismo produce elevate quantità di globuli bianchi

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



anomali. Scemblix blocca specificamente l'azione della tirosin-chinasi BCR-ABL1 prodotta da queste cellule, bloccandone la divisione e la crescita.

Quali benefici di Scemblix sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Scemblix sono stati valutati in uno studio principale condotto su 233 adulti con LMC Ph+ in fase cronica, precedentemente trattati con due o più inibitori della tirosin-chinasi. In questo studio, Scemblix è risultato più efficace di bosutinib (un altro inibitore della tirosin-chinasi): dopo 24 settimane di trattamento, il 25 % dei pazienti (40 su 157) trattati con Scemblix ha avuto una risposta molecolare maggiore (nel senso che il numero di cellule con il gene *BCR-ABL1* era diminuito a 1 000 volte al di sotto del basale standardizzato) rispetto al 13 % dei pazienti (10 su 76) trattati con bosutinib. Dopo 96 settimane di trattamento, il 38 % dei pazienti (59 su 157) trattati con Scemblix e il 16 % (12 su 76) di quelli trattati con bosutinib hanno avuto una risposta molecolare maggiore.

Quali sono i rischi associati a Scemblix?

Gli effetti indesiderati più comuni di Scemblix (che possono riguardare più di 2 persone su 10) sono dolore ai muscoli, alle articolazioni e alle ossa, infezioni delle vie respiratorie superiori (naso e gola), trombocitopenia (bassi livelli di piastrine nel sangue), stanchezza, cefalea, enzimi pancreatici aumentati, dolore addominale, diarrea e nausea.

Gli effetti indesiderati gravi più comuni di Scemblix (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono versamento della pleura (liquido intorno ai polmoni), infezioni delle vie respiratorie inferiori (infezioni dei polmoni, quali bronchite o polmonite), trombocitopenia, febbre, pancreatite (infiammazione del pancreas), dolore toracico (non cardiaco) e vomito.

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

Perché Scemblix è autorizzato nell'UE?

Scemblix ha dimostrato di essere più efficace di un altro inibitore della tirosin-chinasi nel ridurre il numero di cellule con il gene *BCR-ABL1* nei pazienti che avevano già ricevuto in precedenza almeno due inibitori della tirosin-chinasi. In termini di sicurezza, gli effetti indesiderati di Scemblix sono simili a quelli osservati con questa classe di medicinali e sono considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Scemblix 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 Scemblix?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Scemblix 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 Scemblix sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati presunti segnalati con Scemblix sono valutati attentamente e viene intrapresa qualsiasi azione necessaria per tutelare i pazienti.

Altre informazioni su Scemblix

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