



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/513099/2023
EMA/H/C/005886

Spexotras (*trametinib*)

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

Cos'è Spexotras e per cosa si usa?

Spexotras è un medicinale antitumorale usato per il trattamento di bambini di età a partire da 1 anno affetti da glioma (un tipo di tumore cerebrale). È usato in associazione con un altro medicinale antitumorale, dabrafenib. Spexotras è utilizzato solo nei pazienti le cui cellule tumorali del glioma presentano una specifica mutazione (variazione) del gene BRAF denominata "BRAF V600E".

Spexotras può essere usato nei bambini affetti da:

- glioma di basso grado che richiede una terapia sistemica (un trattamento che interessa l'intero organismo);
- glioma di alto grado quando il paziente è stato precedentemente sottoposto ad almeno un trattamento con radiazioni o chemioterapia.

Spexotras contiene il principio attivo trametinib.

Come si usa Spexotras?

Spexotras può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato e seguito da un medico specialista esperto nei trattamenti antitumorali. Prima di iniziare il trattamento, i pazienti devono essere sottoposti a un test per confermare la mutazione BRAF V600E nelle cellule tumorali.

Spexotras è disponibile sotto forma di polvere dispersa (miscelata) in un liquido dal farmacista. Viene quindi assunto giornalmente per via orale. Spexotras è usato in associazione a dabrafenib (Finlee), che viene assunto due volte al giorno. La terapia va continuata finché il paziente ne trae beneficio. In caso di determinati effetti indesiderati, il medico può ridurre o interrompere il trattamento.

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

Come agisce Spexotras?

Le cellule tumorali del glioma con mutazione BRAF producono una forma anomala di una proteina denominata BRAF. La mutazione BRAF più comunemente osservata è la V600E. La proteina BRAF

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



anomala attiva altre proteine denominate MEK1 e MEK2, coinvolte nella stimolazione della divisione cellulare. Ciò si traduce in una divisione incontrollata delle cellule e quindi nello sviluppo del cancro. Il principio attivo di Spexotras, trametinib, agisce bloccando l'attività delle proteine MEK, rallentando in tal modo la crescita e la diffusione del tumore.

Quali benefici di Spexotras sono stati evidenziati negli studi?

Glioma a basso grado

In uno studio in corso 110 bambini con glioma a basso grado con mutazione BRAF V600E sono stati trattati con Spexotras in associazione con dabrafenib o chemioterapia con carboplatino e vincristina (altri medicinali antitumorali). La principale misura dell'efficacia era la percentuale di bambini che rispondevano completamente o parzialmente al trattamento (il cui tumore è scomparso o regredito) dopo almeno 32 settimane di trattamento. La risposta al trattamento era valutata con scansioni del corpo e dati clinici dei pazienti. Il trattamento con Spexotras e dabrafenib ha portato a una risposta nel 47 % dei bambini (34 su 73), rispetto all'11 % (4 su 37) dei bambini trattati con carboplatino e vincristina.

Glioma ad alto grado

Nello stesso studio in corso, 41 bambini con glioma ad alto grado con la mutazione BRAF V600E hanno ricevuto Spexotras in associazione a dabrafenib. Di questi bambini il 56 % (23 su 41) ha raggiunto una risposta completa o parziale al trattamento, che è durato in media 22 mesi. Nel trattamento del glioma di alto grado, Spexotras non è stato confrontato con un'altra terapia o con un placebo (trattamento fittizio).

Quali sono i rischi associati a Spexotras?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Spexotras (che possono riguardare più di 1 persona su 5) comprendono febbre, eruzione cutanea, cefalea, vomito, stanchezza, cute secca, diarrea, sanguinamento, nausea, dermatite acneiforme (eruzione cutanea simile all'acne), neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi che combatte le infezioni), dolore addominale e tosse.

Perché Spexotras è autorizzato nell'UE?

I bambini con glioma a basso grado o glioma ad alto grado hanno opzioni di trattamento limitate. La combinazione di Spexotras e dabrafenib si è dimostrata efficace nel ridurre i tumori nei bambini le cui cellule tumorali presentano una mutazione BRAF V600E. Sebbene i dati sulla sicurezza siano limitati, gli effetti indesiderati sono generalmente considerati gestibili.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Spexotras 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 Spexotras?

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

Altre informazioni su Spexotras

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

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