



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/117224/2023
EMA/H/C/004751

Trecondi (*treosulfan*)

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

Cos'è Trecondi e per cosa si usa?

Trecondi è un medicinale somministrato ai pazienti prima di un trapianto di midollo osseo da un donatore, noto come "trapianto di cellule staminali ematopoietiche allogeniche". Il medicinale viene utilizzato come trattamento di "condizionamento" per eliminare il midollo osseo del paziente e fare posto alle cellule di midollo osseo trapiantate, che possono quindi produrre cellule ematiche sane.

Trecondi è usato in associazione a un medicinale denominato fludarabina in adulti e bambini a partire da un mese di età affetti da cancro del sangue o altre gravi patologie che richiedono un trapianto di midollo osseo.

Il principio attivo di Trecondi è treosulfan.

Il trapianto di cellule staminali ematopoietiche è raro, e Trecondi è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 23 febbraio 2004. Maggiori informazioni sulle qualifiche di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu304186.

Come si usa Trecondi?

Trecondi viene somministrato mediante un'infusione endovenosa (flebo) della durata di due ore. Al paziente viene somministrato una volta al giorno per 3 giorni prima del trapianto. Fludarabina è somministrata una volta al giorno per 5 giorni prima del trapianto.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la somministrazione di Trecondi deve essere eseguita sotto la supervisione di un medico esperto nel regime di condizionamento prima del trapianto di cellule staminali ematopoietiche allogeniche.

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

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Come agisce Trecondi?

Il principio attivo di Trecondi, treosulfan, appartiene a un gruppo di medicinali denominati "agenti alchilanti". Nell'organismo, treosulfan viene convertito in altri composti denominati epossidi che sopprimono le cellule, soprattutto quelle che si sviluppano rapidamente, come le cellule del midollo osseo. Gli epossidi agiscono legandosi al DNA delle cellule mentre si dividono. In tal modo Trecondi può uccidere cellule nel midollo osseo del paziente e fare posto alle nuove cellule provenienti da un donatore.

Quali benefici di Trecondi sono stati evidenziati negli studi?

Tre studi principali hanno dimostrato che Trecondi è tanto efficace quanto busulfan, un altro medicinale utilizzato per preparare i pazienti al trapianto di cellule staminali ematopoietiche.

In uno degli studi, condotto su 570 adulti affetti da leucemia mieloide acuta (un cancro del sangue) o sindromi mielodisplastiche (affezioni in cui sono prodotte elevate quantità di cellule ematiche anomale), il 64 % dei pazienti trattati con Trecondi (in associazione a fludarabina) ha avuto un trapianto con esito positivo e ha vissuto senza malattia per due anni, rispetto al 51 % dei pazienti trattati con busulfan (in associazione a fludarabina).

In un altro studio condotto su 70 bambini affetti da cancro del sangue, il 99 % dei bambini trattati con Trecondi (con fludarabina) era vivo 3 mesi dopo il trapianto; il 91 % dei bambini era in vita dopo un anno e l'84 % dopo tre anni.

In un ulteriore studio condotto su 101 bambini affetti da altri disturbi gravi che hanno richiesto un trapianto di midollo osseo, nessuno dei 51 bambini trattati con Trecondi era deceduto per cause correlate al trapianto nei tre mesi successivi alla procedura, rispetto a 5 bambini su 50 trattati con busulfan (con fludarabina). Un anno dopo il trapianto, il 96 % dei bambini trattati con Trecondi e l'88 % di quelli trattati con busulfan erano vivi.

Quali sono i rischi associati a Trecondi?

Gli effetti indesiderati più comuni di Trecondi negli adulti e nei bambini (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono infezioni, nausea, stomatite (infiammazione della mucosa della bocca), vomito e diarrea. Stanchezza, neutropenia febbrile (bassa conta dei globuli bianchi con febbre) e livelli ematici elevati di bilirubina (un prodotto di degradazione dei globuli rossi) sono stati osservati anche in più di 1 adulto su 10; inoltre, epatossicità e un aumento dei livelli ematici di alcuni enzimi epatici, dolore addominale (mal di pancia), sensazione di prurito e febbre possono riguardare anche più di 1 bambino su 10.

Gli effetti indesiderati comuni negli adulti (che possono riguardare più di 1 persona su 100) sono dolore addominale, appetito ridotto, eruzione cutanea, sensazione di prurito, perdita di capelli, febbre, edema (tumefazione dovuta alla ritenzione di liquidi) e aumento dei livelli di taluni enzimi del fegato nel sangue. Effetti indesiderati comuni nei bambini (che possono riguardare più di 1 persona su 100) sono stanchezza, neutropenia febbrile, eruzione cutanea, perdita di capelli ed elevati livelli di bilirubina nel sangue.

Trecondi non deve essere usato in pazienti con un'infezione attiva, non controllata, con gravi problemi cardiaci, polmonari, epatici o renali, e in pazienti con anemia di Fanconi e altri disturbi della riparazione del DNA. Le donne in gravidanza non devono usare Trecondi; i vaccini vivi non devono essere somministrati a pazienti trattati con Trecondi.

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

Perché Trecondi è autorizzato nell'UE?

Trecondi è efficace nel preparare adulti e bambini al trapianto di cellule staminali ematopoietiche.

Gli effetti indesiderati di Trecondi sono gestibili e comparabili a quelli riscontrati con busulfan. Analogamente a busulfan, Trecondi è considerato un trattamento di condizionamento d'intensità ridotta: ciò significa che è meno tossico dei trattamenti di condizionamento standard a base di chemioterapia con o senza radiazioni.

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

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

Altre informazioni su Trecondi

Trecondi ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 20 giugno 2019.

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 02-2023.