



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/62546/2020  
EMA/H/C/005207

## Trepulmix (*treprostinil*)

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

### Cos'è Trepulmix e per cosa si usa?

Trepulmix è un medicinale usato nel trattamento dell'ipertensione polmonare tromboembolica cronica (CTEPH), un'affezione che comporta una pressione del sangue elevata nei polmoni causata da coaguli di sangue. Può essere utilizzato per migliorare la capacità di svolgere attività fisica nei pazienti:

- che non possono essere operati;
- che non guariscono o hanno recidive dopo un'operazione per tale affezione.

La CTEPH è rara e Trepulmix è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 febbraio 2013. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3131103](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3131103).

Trepulmix è un "medicinale ibrido". Questo significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo, ma è indicato per il trattamento di una diversa forma di ipertensione polmonare. Il medicinale di riferimento di Trepulmix è Remodulin.

Trepulmix contiene il principio attivo treprostinil.

### Come si usa Trepulmix?

Trepulmix è somministrato per infusione (flebo) sottocutanea con una pompa per controllare la velocità di infusione. La dose è calcolata in base al peso del paziente e adeguata in funzione dei risultati in termini di controllo dell'affezione e della gravità degli eventuali effetti indesiderati. Al paziente deve essere insegnato come usare la pompa ed effettuare l'infusione del medicinale.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato e controllato esclusivamente da operatori sanitari con esperienza nel trattamento dell'ipertensione polmonare. Il trattamento deve iniziare in un contesto in cui sono disponibili strutture di terapia intensiva.

Per maggiori informazioni sull'uso di Trepulmix, 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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Come agisce Trepulmix?**

Il principio attivo di Trepulmix (treprostinil) funziona in modo analogo a quello della prostaciclina, una sostanza naturale che dilata i vasi sanguigni e impedisce alle piastrine (componenti del sangue) di legarsi l'una all'altra formando coaguli. Nei pazienti affetti da CTEPH questi effetti di treprostinil impediscono la formazione di coaguli di sangue e abbassano la pressione sanguigna nell'arteria polmonare, attenuando quindi i sintomi della malattia.

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

Uno studio principale condotto su 105 pazienti con CTEPH grave non operabile ha riscontrato che Trepulmix può migliorare la capacità dei pazienti di svolgere attività fisica, misurata come capacità di camminare.

In questo studio i pazienti hanno assunto Trepulmix a una dose elevata (30 nanogrammi/kg/minuto) o bassa (3 nanogrammi/kg/minuto) con la quale non era atteso alcun effetto. Dopo 24 settimane, i pazienti che avevano assunto la dose elevata erano in grado di percorrere in 6 minuti una media di 45 metri in più rispetto all'inizio del trattamento, a fronte dei 4 metri in più per i pazienti a basso dosaggio.

Studi supplementari, compreso il confronto con i dati relativi a pazienti affetti da CTEPH che non erano stati trattati con Trepulmix, hanno confermato il miglioramento della capacità di svolgere attività fisica.

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Trepulmix (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono cefalea, dilatazione dei vasi sanguigni (con rossore), diarrea, nausea, dolore alla mandibola e reazioni nel sito di iniezione quali dolore, tumefazione e sanguinamento.

Trepulmix non deve essere usato in pazienti con affezioni cardiache, ictus, problemi a carico dell'intestino quali ulcere, vene ostruite nei polmoni e gravi problemi al fegato. I pazienti non devono assumere Trepulmix insieme a medicinali analoghi denominati prostanoidi.

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

## **Perché Trepulmix è autorizzato nell'UE?**

Lo studio principale ha riscontrato che Trepulmix aumenta la distanza percorribile a piedi dai pazienti in 6 minuti. Sebbene fosse uno studio di portata limitata (a causa della rarità della malattia), i risultati sono stati significativi. Studi supplementari hanno evidenziato che Trepulmix ha migliorato la circolazione del sangue e la capacità dei pazienti di svolgere attività fisica.

Gli effetti indesiderati, ossia quelli attesi dal meccanismo d'azione di Trepulmix, sono gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Trepulmix 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 Trepulmix?**

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

## **Altre informazioni su Trepulmix**

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

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trepulmix](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/trepulmix).