



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/258552/2025
EMA/H/C/006477

Tryngolza (*olezarsen*)

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

Cos'è Tryngolza e per cosa si usa?

Tryngolza è un medicinale utilizzato in associazione alla dieta per il trattamento di adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS), un'affezione genetica che provoca livelli elevati di grassi denominati trigliceridi nel sangue. Il grasso in eccesso si accumula in varie parti dell'organismo e comporta reazioni sintomatiche, tra cui dolore addominale (mal di pancia), depositi di adipe sotto la cute e pancreatite (infiammazione del pancreas). Tryngolza è usato per il trattamento dell'FCS confermata da test genetici.

La FCS è rara e Tryngolza è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 agosto 2024. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Tryngolza contiene il principio attivo olezarsen.

Come si usa Tryngolza?

Tryngolza può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica ed è disponibile sotto forma di soluzione iniettabile in penne preriempite. Viene somministrato una volta al mese per iniezione sottocutanea nell'addome (pancia), nella parte anteriore della coscia o sul retro della parte superiore del braccio. I pazienti o le persone che li assistono possono praticare l'iniezione di Tryngolza da soli dopo aver ricevuto le opportune istruzioni.

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

Come agisce Tryngolza?

Il principio attivo di Tryngolza, olezarsen, è un «oligonucleotide antisense», un frammento di RNA sintetico (artificiale) (un tipo di materiale genetico) molto breve. È stato concepito per bloccare la produzione di una proteina denominata apolipoproteina C-III (apoC-III), che rallenta la degradazione dei grassi. Bloccando la produzione di questa proteina, il medicinale riduce il livello di trigliceridi nel sangue e, di conseguenza, l'accumulo di grassi nell'organismo.

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



Quali benefici di Tryngolza sono stati evidenziati negli studi?

Tryngolza si è dimostrato efficace nella riduzione dei livelli di trigliceridi nel sangue in uno studio principale condotto su 66 adulti affetti da FCS. Tutti i pazienti che hanno partecipato allo studio seguivano una dieta controllata in aggiunta alla somministrazione di Tryngolza o di placebo (un trattamento fittizio).

Dopo 6 mesi di trattamento, i pazienti trattati con Tryngolza hanno registrato una riduzione media del livello di trigliceridi nel sangue del 32 %, rispetto a un aumento medio del 12 % nei pazienti trattati con placebo. Questo effetto è stato mantenuto e migliorato dopo un anno di trattamento; lo studio ha inoltre dimostrato che i casi di pancreatite acuta nei pazienti trattati con Tryngolza sono stati molto meno numerosi rispetto a quelli che hanno ricevuto placebo.

Quali sono i rischi associati a Tryngolza?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Tryngolza (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono eritema (arrossamento della pelle) nel sito di iniezione, cefalea, dolore articolare e vomito.

Perché Tryngolza è autorizzato nell'UE?

È stato dimostrato che Tryngolza riduce i livelli di trigliceridi nel sangue e riduce il rischio di pancreatite acuta nei pazienti affetti da FCS. La sicurezza del medicinale è stata considerata accettabile, in particolare il fatto che Tryngolza non sembra incidere sui livelli ematici delle piastrine (componenti che favoriscono la coagulazione del sangue). Anche il suo calendario mensile di dosaggio e il miglioramento della sicurezza sono stati considerati benefici per i pazienti affetti da FCS. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Tryngolza 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 Tryngolza?

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

Altre informazioni su Tryngolza

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