



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025
EMA/H/C/005636

Welireg (*belzutifan*)

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

Cos'è Welireg e per cosa si usa?

Welireg è un medicinale antitumorale usato per il trattamento di:

- adulti con carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare (un tipo di cancro del rene) progredito malgrado due o più trattamenti precedenti, tra cui un inibitore di PD-(L)1 e almeno due tipi di medicinali mirati anti-VEGF. "Avanzato" significa che il cancro ha iniziato a espandersi;
- adulti con malattia di von Hippel-Lindau (VHL) che necessitano di terapia per carcinoma a cellule renali associato localizzato (limitato a un'area dell'organismo), per emangioblastomi del sistema nervoso centrale (un tipo di tumore cerebrale) o per tumori neuroendocrini del pancreas (un tipo di cancro del pancreas) e che non possono essere sottoposti a intervento chirurgico o ad altri trattamenti locali. La malattia di VHL è una patologia genetica che provoca la crescita di tumori e cisti in alcune parti dell'organismo.

Welireg contiene il principio attivo belzutifan.

Come si usa Welireg?

Welireg può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La terapia deve essere iniziata e seguita esclusivamente da medici con esperienza nel trattamento di pazienti oncologici.

Welireg è disponibile in compresse da assumere per via orale una volta al giorno. Il trattamento continua fintanto che il paziente ne trae beneficio o fino a quando gli effetti indesiderati diventano insostenibili.

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

Come agisce Welireg?

Il principio attivo di Welireg, belzutifan, blocca l'azione di una proteina denominata fattore inducibile dall'ipossia 2 alfa (HIF-2α), che contribuisce allo sviluppo delle cellule, alla formazione di nuovi vasi sanguigni e alla crescita del cancro. In tal modo, belzutifan può impedire la formazione di nuovi vasi sanguigni, interrompendo l'afflusso di sangue che alimenta le cellule tumorali, e ridurre la crescita del cancro.

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 Welireg sono stati evidenziati negli studi?

Carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare (RCC)

Uno studio principale ha dimostrato che Welireg era efficace almeno quanto everolimus, un altro medicinale antitumorale approvato, nel trattamento del carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare.

In tale studio, tra i 369 pazienti la cui malattia era peggiorata malgrado trattamenti precedenti, quelli trattati con Welireg sono sopravvissuti per circa 22 mesi, mentre quelli trattati con everolimus sono sopravvissuti per circa 18 mesi. Inoltre, il tempo medio di sopravvivenza senza peggioramento del cancro è stato di 4,6 mesi per i soggetti trattati con Welireg, rispetto a 5,4 mesi per quelli trattati con everolimus.

Tumori associati alla malattia di von Hippel-Lindau (VHL)

Uno studio principale ha dimostrato l'efficacia di Welireg nel trattamento di soggetti con alcuni tumori associati alla malattia di VHL.

Come principale misura di efficacia è stata considerata la percentuale di pazienti con carcinoma a cellule renali che non presentavano segni di cancro o in cui il cancro si era ridotto dopo il trattamento con Welireg. Tale risposta è stata osservata in 41 dei 61 pazienti affetti da questo tumore (67 %) e in 29 pazienti ha avuto una durata di almeno 18 mesi. È stata rilevata una risposta anche in pazienti con emangioblastomi del sistema nervoso centrale e tumori neuroendocrini del pancreas. Lo studio non ha confrontato Welireg con altri trattamenti o con placebo (un trattamento fittizio).

Quali sono i rischi associati a Welireg?

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

Gli effetti indesiderati più comuni di Welireg (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono anemia (bassi livelli di globuli rossi), stanchezza, nausea, dispnea (difficoltà di respirazione), capogiro e ipossia (mancanza di ossigeno nei tessuti dell'organismo). Alcuni effetti indesiderati di Welireg possono essere gravi. I più comuni sono ipossia, anemia e dispnea e possono riguardare fino a 1 persona su 10.

L'uso di Welireg durante la gravidanza può causare aborto spontaneo e danni gravi al feto. Pertanto Welireg non deve essere usato da donne in gravidanza con tumori associati alla malattia di VHL e deve essere utilizzato da donne incinte con carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare solo se il medico lo ritiene assolutamente necessario. Le donne in età fertile devono eseguire un test di gravidanza prima di iniziare il trattamento con Welireg per accertarsi di non essere incinte. Le donne devono utilizzare un metodo contraccettivo efficace prima e nel corso del trattamento con Welireg nonché per almeno una settimana dopo la sua interruzione. Welireg può ridurre l'efficacia della contraccezione ormonale. Pertanto, le donne che assumono Welireg devono affiancarvi un metodo contraccettivo non ormonale, come l'uso del preservativo da parte del partner.

Perché Welireg è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'approvazione, erano disponibili opzioni terapeutiche limitate per gli adulti con carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare in cui il cancro era peggiorato malgrado due o più trattamenti precedenti, tra cui un tipo di medicinale antitumorale denominato inibitore di PD-(L)1 e almeno due tipi di medicinali antitumorali mirati anti-VEGF. Uno studio principale ha dimostrato che

Welireg è efficace almeno quanto un medicinale di confronto nel prolungare il tempo di sopravvivenza e nel ritardare il peggioramento della malattia in questi pazienti.

Al momento dell'approvazione, non era disponibile alcuna terapia autorizzata per adulti con malattia di VHL che necessitavano di un trattamento per tumori associati. Lo studio principale condotto su questi pazienti, pur non avendo confrontato Welireg con un altro trattamento antitumorale o con placebo e pur avendo incluso un numero limitato di pazienti, ha dimostrato l'efficacia di Welireg nel ridurre le dimensioni o nell'eliminare i segni del cancro.

Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati di Welireg osservati negli studi erano gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Welireg sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Welireg ha ottenuto un'autorizzazione subordinata a condizioni. Questo significa che è stato autorizzato sulla base di dati meno esaustivi di quelli normalmente necessari, poiché risponde a un'esigenza medica non soddisfatta. L'Agenzia ritiene che i benefici derivanti dalla disponibilità anticipata del medicinale siano superiori ai rischi associati al suo utilizzo in attesa di ulteriori prove.

La ditta deve fornire ulteriori dati su Welireg. Deve presentare i risultati di due studi in corso per confermare l'efficacia e la sicurezza di Welireg negli adulti con determinati tumori associati alla malattia di VHL. Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Welireg?

La ditta che commercializza Welireg fornirà una guida per gli operatori sanitari e una scheda informativa per i pazienti, spiegando i rischi di danni gravi per il feto, le precauzioni necessarie per evitare gravidanze durante il trattamento e le misure da intraprendere in caso di insorgenza di una gravidanza durante la terapia.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Welireg sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Welireg sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Welireg sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Welireg

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

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