

Public Summary SwissPAR del 23.03.2022

## Doptelet<sup>®</sup> (principio attivo: avatrombopag)

Prima omologazione in Svizzera: 23.11.2021

Medicamento per il trattamento della trombocitopenia grave e della trombocitopenia immune cronica in persone adulte

### Informazioni sul medicamento

Doptelet contiene il principio attivo avatrombopag ed è impiegato per il trattamento della trombocitopenia grave in persone adulte con epatopatia cronica in attesa di sottoporsi a procedura invasiva (intervento chirurgico). Doptelet è indicato anche per il trattamento della trombocitopenia immune (Immune Thrombocytopenia, ITP) cronica in persone adulte con risposta inadeguata ad almeno un trattamento precedente.

La trombocitopenia (TCP) è una malattia del sangue caratterizzata da un numero ridotto di trombociti (piastrine). La TCP si manifesta in pazienti con epatopatia cronica. Queste pazienti e questi pazienti presentano un elevato rischio di sanguinamento a causa del ridotto numero di trombociti, ma necessitano di numerosi interventi chirurgici.

La trombocitopenia immune (ITP) cronica è una trombocitopenia acquisita causata da una risposta del sistema immunitario ai trombociti. Questa reazione autoimmune può colpire anche i megacariociti (cellule

progenitrici dei trombociti), comportando una riduzione della produzione di trombociti. A seconda della durata, la ITP viene classificata come acuta (nuova diagnosi; 0-3 mesi), persistente (3-12 mesi) o cronica ( $\geq$  12 mesi).

Per valutare la domanda di omologazione di Doptelet per il trattamento della trombocitopenia grave in persone adulte con epatopatia cronica, Swissmedic ha tenuto conto delle valutazioni dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e dell'agenzia statunitense per i farmaci (FDA). Swissmedic rimanda ai rapporti di valutazione pubblicamente accessibili ([www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu) e [www.fda.gov](http://www.fda.gov)).

La valutazione di Swissmedic per quanto concerne il medicamento Doptelet si è basata sui dati del trattamento della trombocitopenia immune cronica. I dati e le spiegazioni contenuti nello SwissPAR e nel Public Summary SwissPAR derivante descrivono quindi principalmente questi risultati e conclusioni.

---

## Meccanismo d'azione

---

Avatrombopag è un cosiddetto «agonista del recettore della trombopoietina (TPO)<sup>1</sup>» che stimola la divisione cellulare, la crescita

cellulare e la differenziazione dei megacariociti dalle cellule progenitrici del midollo osseo aumentando così il numero di trombociti.

---

## Impiego

---

Doptelet è soggetto a prescrizione medica ed è omologato come compressa contenente 20 mg del principio attivo avatrombopag.

Doptelet deve essere assunto alla stessa ora del giorno con un pasto. La dose giornaliera raccomandata di Doptelet si basa sul numero di trombociti presenti nel sangue.

Un aumento della conta piastrinica è stato osservato entro 3-5 giorni dall'inizio del trattamento. Il valore massimo è stato notato dopo 10-13 giorni. Dopo il trattamento, le conte piastriniche si sono gradualmente ridotte, rientrando a valori prossimi al basale.

---

## Efficacia

---

L'efficacia di Doptelet per il trattamento della trombocitopenia immune cronica è stata valutata principalmente nello studio 302 condotto su un totale di 49 partecipanti.

Per confermare l'efficacia di Doptelet, una parte delle pazienti e dei pazienti è stata trattata con Doptelet o placebo (un medicamento fittizio) per 6 mesi.

L'efficacia di Doptelet è stata dimostrata considerando il numero di settimane in cui le conte piastriniche erano risultate sufficientemente elevate. Nelle pazienti e nei pazienti trattati con Doptelet, questo numero era superiore rispetto a quello delle pazienti e dei pazienti a cui era stato somministrato il placebo.

---

## Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

---

Doptelet non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria.

Gli effetti indesiderati più comuni in tutte le pazienti e in tutti i pazienti trattati con Doptelet sono stati cefalea ed esaurimento. Eventi tromboembolici<sup>2</sup> sono stati registrati nel 7% delle pazienti e dei pazienti con

trombocitopenia immune cronica. Il medico deve essere informato immediatamente se ci sono segni (p.es. senso di pesantezza, formicolio, gonfiore).

Tutte le precauzioni, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione professionale.

---

<sup>1</sup> Agonista del recettore: i recettori sono siti di aggancio molto specifici a una cellula. Esistono recettori per una molteplicità di sostanze. Non appena una specifica sostanza si lega (agonista) al suo recettore, si innesca una reazione nella cellula.

<sup>2</sup> Tromboembolia: un evento tromboembolico è causato da un coagulo di sangue (trombo) che blocca un punto nel circolo sanguigno oppure viene trasportato ulteriormente nel circolo sanguigno (embolo) e occlude un altro vaso (embolia).

---

## Motivazione della decisione di omologazione

---

Lo studio rilevante ai fini dell'omologazione ha dimostrato l'efficacia di Doptelet in persone adulte con ITP cronica. Doptelet ha aumentato la conta piastrinica in modo rapido e duraturo.

Tenendo conto di tutti i dati disponibili, i benefici di Doptelet superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato il medicamento

Doptelet per il trattamento di persone adulte con trombocitopenia grave in attesa di sottoporsi a procedura invasiva e per il trattamento di persone adulte con trombocitopenia immune cronica con risposta inadeguata ad almeno un trattamento precedente.

---

## Maggiori informazioni sul medicamento

---

Informazione per gli operatori sanitari: [Informazione professionale di Doptelet®](#)

Per altre domande, rivolgersi ai professionisti della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.