

Public Summary SwissPAR del 09.02.2024

Ultomiris® (principio attivo: ravulizumab)

Estensione dell'indicazione in Svizzera: 29.08.2023

Medicamento (concentrato per soluzione per infusione) per il trattamento di persone adulte con NMOSD positive agli anticorpi anti-AQP4.

Informazioni sul medicamento

Il medicamento Ultomiris con il principio attivo ravulizumab è utilizzato per il trattamento di persone adulte con disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) positive agli anticorpi anti-acquaporina-4 (proteina AQP4).

Le NMOSD sono un gruppo di malattie autoimmuni rare che colpiscono il sistema nervoso centrale, con lesioni che interessano principalmente il nervo ottico e il midollo spinale. La prevenzione delle recidive è un obiettivo importante del trattamento dell'NMOSD. In Europa i tassi di malattia sono molto bassi. In Svizzera esistono attualmente due opzioni terapeutiche a lungo termine omologate (Enspr yng® e Soliris®).

Ultomiris è stato omologato da Swissmedic il 20 gennaio 2020 per il trattamento di persone adulte affette da emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Inoltre, il

24 agosto 2021 è stata omologata un'estensione dell'indicazione di Ultomiris per il trattamento di persone adulte e bambine/i con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affette/i da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa). Il 14 luglio 2022 Swissmedic ha omologato per l'uso in Svizzera un'ulteriore estensione dell'indicazione di Ultomiris per il trattamento di bambine/i e adolescenti con un peso corporeo pari o superiore a 10 kg con emoglobinuria parossistica notturna (EPN).

Poiché la NMOSD è una malattia molto rara e potenzialmente letale, anche l'attuale estensione dell'indicazione di Ultomiris è stata omologata come medicamento orfano. Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Nelle NMOSD il sistema del complemento (una parte importante del sistema immunitario dell'organismo) agisce in maniera incontrollata ed eccessiva perché mancano o non funzionano correttamente le proteine importanti per il processo di segnalazione

cellulare, con conseguenti danni alle cellule nervose.

Il principio attivo di Ultomiris, ravulizumab, è un anticorpo monoclonale. Gli anticorpi

monoclonali sono proteine che possono legarsi specificamente ad altre proteine. Ultomiris si lega alla proteina C5, che è un elemento del sistema del complemento. Legandosi alla proteina e bloccandola, Ultomiris

impedisce alle difese immunitarie di danneggiare le cellule, contribuendo così a controllare i sintomi della malattia.

Impiego

Ultomiris con il principio attivo ravulizumab è soggetto a prescrizione medica.

Ultomiris è disponibile come concentrato per soluzione per infusione in dosi da 300 mg/30 ml, 300 mg/3 ml e 1100 mg/11 ml. La soluzione per infusione è somministrata per via endovenosa (in vena).

Lo schema posologico consigliato consiste in una dose iniziale seguita da dosi di mantenimento. Le dosi si basano sul peso corporeo della paziente o del paziente e vengono

somministrate a intervalli di 8 settimane (dosi di mantenimento), a partire da 2 settimane dopo la somministrazione della dose iniziale.

Prima di iniziare il trattamento è necessario confermare l'assenza di un'infezione/sepsi attiva da meningococco e una copertura vaccinale sufficiente contro i meningococchi. A causa del suo meccanismo d'azione, il ravulizumab aumenta la suscettibilità all'infezione/sepsi meningococcica.

Efficacia

L'efficacia di Ultomiris in persone adulte affette da NMOSD e positive agli anticorpi anti-AQP4 è stata valutata nello studio 307 (in corso di svolgimento).

Un numero complessivo di 58 pazienti è stato trattato con Ultomiris e messo a confronto con 47 pazienti che avevano ricevuto un medicamento fittizio (placebo) in un altro studio con persone adulte affette da NMOSD. Alla data di riferimento dei dati, quasi tutti (96,6%) avevano completato la fase di trattamento primaria dopo una mediana di¹ 73,5 settimane. Nelle pazienti e nei pazienti che hanno ricevuto Ultomiris non sono state osservate recidive durante il periodo di trattamento primario. Al contrario,

il 42,6% delle pazienti e dei pazienti del gruppo placebo ha sofferto di recidive. Un'analisi aggiornata ha dimostrato che nel corso di una durata media del trattamento con Ultomiris di quasi due anni non è stata documentata alcuna recidiva della malattia. Tuttavia, tra il gruppo Ultomiris e il gruppo placebo si sono registrati squilibri nelle caratteristiche della malattia delle pazienti e dei pazienti, il che ha reso difficile un confronto diretto degli effetti del trattamento.

L'effetto di Ultomiris non è stato studiato per il trattamento acuto delle recidive in pazienti affette/i da NMOSD.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

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

deve essere utilizzato in caso di infezione da meningococco, se la/il paziente non è vaccinata/o contro i meningococchi o in caso di

¹ Mediana: il valore che occupa esattamente la posizione centrale nella distribuzione dei dati si chiama «mediana» o «valore mediano». Una metà di tutti i dati è sempre minore e l'altra sempre maggiore rispetto alla mediana.

difetti congeniti noti del sistema del complemento.

Gli effetti indesiderati più comuni (riguardano più di 1 utilizzatrice o utilizzatore su 10) sono diarrea, infezioni delle vie respiratorie superiori, rinofaringite (infiammazione

che coinvolge contemporaneamente le mucose delle cavità nasali e della faringe) e cefalea.

Gli effetti collaterali più gravi osservati sono l'infezione/la sepsi meningococcica.

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

Motivazione della decisione di omologazione

Sebbene negli ultimi tempi siano disponibili terapie per il trattamento dell'NMOSD, sussiste un elevato fabbisogno medico di opzioni terapeutiche sicure ed efficaci.

Lo studio 307 condotto ha dimostrato che Ultomiris può prolungare significativamente il tempo privo di recidive rispetto al placebo.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Ultomiris per il trattamento dell'NMOSD superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera l'estensione dell'indicazione del medicamento Ultomiris contenente il principio attivo ravulizumab.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per il personale medico-sanitario: [Informazione professionale di Ultomiris®](#)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i 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'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.