

Public Summary SwissPAR del 24.08.2023

ELZONRIS® (principio attivo: tagraxofusp)

Prima omologazione in Svizzera: 03.02.2023

Medicamento (concentrato per soluzione per infusione) per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN)

Informazioni sul medicamento

Il medicamento ELZONRIS con il principio attivo tagraxofusp viene utilizzato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN).

Questa malattia è un tipo di cancro del sangue molto raro e aggressivo, che spesso si manifesta sotto forma di alterazioni della pelle ed è dovuto all'aumento della formazione di cellule dendritiche plasmacitoidi maligne¹. Può insorgere a qualsiasi età, ma di solito colpisce persone adulte, gli uomini più spesso delle donne.

Non esiste una terapia standard contro la BPDCN e in Svizzera non è stata omologata

alcuna terapia specifica per la BPDCN. Spesso si ricorre a chemioterapie intensive. Tuttavia, il rischio di una recidiva è elevato. Con un trapianto di cellule staminali è possibile prolungare notevolmente il tempo di sopravvivenza. ELZONRIS è un'opzione di trattamento aggiuntiva che aiuta a distruggere le cellule BPDCN.

Poiché la BPDCN è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come medicamento orfano. Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Le cellule tumorali dendritiche plasmacitoidi presentano determinate caratteristiche sulla superficie cellulare, tra cui i cosiddetti «antigeni CD123». ELZONRIS è una proteina che si

contrappone specificamente alle cellule con questa caratteristica CD123. Agisce trasportando le tossine nelle cellule tumorali e causando la morte.

¹Cellule dendritiche: le cellule dendritiche sono cellule del sangue altamente specializzate che contribuiscono alla risposta immunitaria dell'organismo.

Impiego

ELZONRIS con il principio attivo tagraxofusp è soggetto a prescrizione medica.

ELZONRIS è disponibile in flaconcini come concentrato di 1 mg/ml per soluzione per infusione.

La dose raccomandata è di 12 µg tagraxofusp/kg di peso corporeo, somministrata tramite infusione endovenosa, una volta al giorno, nei giorni 1-5 di un ciclo di 21 giorni. Il trattamento deve essere continuato fino alla progressione della malattia o all'insor-

gere di effetti collaterali inaccettabili o di altre cause che ne rendono necessaria l'interruzione (p. es. passaggio al trapianto di cellule staminali).

ELZONRIS deve essere somministrato da personale medico-sanitario. Le pazienti e i pazienti devono essere monitorati per rilevare segni e sintomi di ipersensibilità o di sindrome da perdita capillare (CLS)² fino ad almeno 24 ore dopo la somministrazione del 1° ciclo di ELZONRIS.

Efficacia

L'efficacia di ELZONRIS è stata presa in esame nell'ambito dello studio 0114. Allo studio hanno partecipato pazienti adulte/i affette/i da BPDCN.

Lo studio è stato condotto negli Stati Uniti. Le/i pazienti hanno ricevuto ELZONRIS per infusione nei giorni 1-5 di un ciclo di 21 giorni, fino alla progressione della malattia o all'insorgere di altre cause che hanno reso necessaria l'interruzione del trattamento.

L'effetto è stato considerato statisticamente significativo nei casi in cui più del 10% delle pazienti e dei pazienti hanno risposto completamente alla terapia.

Un totale di 65 pazienti con BPDCN ha ricevuto ELZONRIS come trattamento iniziale e il 56,9% ha avuto una risposta completa. Inoltre, il 32% delle/dei pazienti ha ricevuto un trapianto di cellule staminali dopo il trattamento con ELZONRIS.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

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

L'effetto indesiderato più grave che può manifestarsi durante il trattamento con ELZONRIS è la sindrome da perdita capillare (CLS)², che si è verificata nel 18% delle/dei pazienti.

Altri effetti indesiderati che si sono verificati in oltre il 30% delle/dei pazienti sono stati valori elevati degli enzimi epatici (aumento

delle transaminasi), albumina ematica ridotta nel sangue (ipoalbuminemia), basso numero di piastrine (trombocitopenia), nausea, febbre (piressia), affaticamento e gonfiore dovuti alla ritenzione di liquidi nel corpo (edemi).

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

²Sindrome da perdita capillare (CLS): effetto collaterale potenzialmente letale dovuto alla permeabilità dei capillari (vasi sanguigni più piccoli).

Motivazione della decisione di omologazione

La BPDCN è una malattia molto rara e aggressiva con una prognosi sfavorevole per le/i pazienti. Finora in Svizzera non è stata omologata alcuna terapia specificatamente per la BPDCN. Il trattamento di solito prevede una chemioterapia intensiva, seguita da un trapianto di cellule staminali in caso di risposta. L'efficacia di ELZONRIS esaminata nello studio è considerata come sufficiente e clinicamente rilevante. Il profilo degli effetti

collaterali di ELZONRIS è diverso, ma la sicurezza complessiva è simile a quella delle chemioterapie intensive attualmente in uso.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di ELZONRIS superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento ELZONRIS contenente il principio attivo Tagraxofusp.

Maggiori informazioni sul medicamento

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

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'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.