

Rapporto sintetico di omologazione del 15.11.2024

Libmeldy® (principio attivo: atidarsagene autotemcel)

Omologazione in Svizzera: 07.12.2023

Dispersione per infusione per il trattamento di bambini con leucodistrofia metacromatica (MLD)

Informazioni sul medicamento

Libmeldy contiene il principio attivo atidarsagene autotemcel.

Il medicamento Libmeldy è utilizzato per il trattamento di bambini affetti da leucodistrofia metacromatica (MLD).

Libmeldy si usa:

- nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia.
- Nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo.

La MLD è una malattia ereditaria rara. È caratterizzata da una mutazione del gene che serve per la produzione dell'enzima arilsulfatasi A (ARSA). L'ARSA è necessaria per scomporre alcune sostanze chiamate sulfatidi. La mutazione del gene comporta una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA. Di conseguenza, i sulfatidi si accumulano, il che può causare danni al sistema nervoso e ad altri organi.

I bambini che soffrono di MLD possono avere difficoltà a camminare; il difetto genetico può portare alla perdita delle funzioni motorie e cognitive ed infine alla morte.

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

Swissmedic ha omologato Libmeldy in conformità con l'articolo 13 della legge sugli agenti terapeutici (LATer). Questo significa che il medicamento è già stato omologato in un altro Paese con controllo dei medicinali equivalente. In questo caso Swissmedic tiene conto dei risultati degli esami effettuati dalle autorità estere di controllo dei medicinali, a condizione che siano soddisfatti determinati requisiti. Tali requisiti riguardano gli esami effettuati sulla qualità, sull'efficacia e sulla sicurezza del medicamento nonché la misura in cui i risultati possono essere adottati per la Svizzera. Tenere conto dei risultati delle procedure di omologazione estere deve contribuire a mettere a disposizione delle pazienti e dei pazienti

svizzeri i medicinali già omologati all'estero il più rapidamente possibile.

Per l'omologazione di Libmeldy in Svizzera, Swissmedic ha ripreso la valutazione e la decisione di omologazione dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA; Reference Number EMA/584450/2020) e ha effettuato solo una valutazione scientifica limitata.

Sia nello SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) sia nel relativo Rapporto sintetico di omologazione, Swissmedic fa quindi riferimento al rapporto di valutazione pubblicamente disponibile dell'autorità di riferimento:

www.ema.europa.eu

Maggiori informazioni sul medicamento

Al momento della pubblicazione del rapporto sintetico di omologazione non sono ancora disponibili l'informazione professionale e l'informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo). Non appena il medicamento sarà ottenibile in Svizzera, saranno

rese disponibili l'informazione professionale e l'informazione destinata ai pazienti alla seguente pagina Internet:

www.swissmedicinfor.ch

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 Rapporto sintetico di omologazione.

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.