

Rapporto sintetico di omologazione del 25.08.2026

## Ojemda® (principio attivo: tovorafenib)

Omologazione temporanea in Svizzera: 05.05.2026

**Polvere per sospensione orale per il trattamento del glioma pediatrico di basso grado con anomalia di BRAF dopo precedente terapia**

### Informazioni sul medicamento

Ojemda contiene il principio attivo tovorafenib.

Ojemda è un medicamento per il trattamento di un raro tumore cerebrale nei bambini, il glioma pediatrico di basso grado. Si tratta di un tumore che si forma nel cervello da determinate cellule di sostegno (cellule gliali) che supportano e proteggono le cellule nervose.

Il medicamento è usato in pazienti a partire dai 6 mesi di età il cui tumore presenta una determinata anomalia genetica del gene

BRAF (fusione, riarrangiamento o mutazione di BRAF) e si è ripresentato dopo un precedente trattamento o non ha risposto a tale trattamento.

Poiché si tratta di una malattia rara e pericolosa per la vita o cronicamente invalidante, il medicamento Ojemda è stato omologato come «medicamento orfano». I medicinali orfani sono destinati al trattamento di pazienti con malattie rare.

### Meccanismo d'azione

Ojemda agisce in modo mirato su determinate alterazioni nelle cellule tumorali. Alcuni di questi tumori presentano un'anomalia del gene BRAF. Di conseguenza, nelle cellule che controllano la crescita i segnali rimangono permanentemente attivi, consentendo alle cellule tumorali di moltiplicarsi in modo incontrollato.

Il medicamento interviene in questi processi di crescita e inibisce i segnali iperattivi che stimolano la crescita tumorale. Ne consegue che la crescita delle cellule tumorali può rallentare o arrestarsi.

### Impiego

Ojemda è soggetto a prescrizione medica. Il medicamento è disponibile sotto forma di polvere per sospensione orale e di compresse rivestite con film. La sospensione

viene assunta dopo essere stata preparata con acqua.

La posologia raccomandata dipende dalla grandezza (superficie corporea) della paziente o del paziente. Ojemda viene assunto una volta alla settimana.

Il trattamento viene proseguito fino a quando non si constata perdita del beneficio o comparsa di effetti collaterali gravi.

Prima di iniziare il trattamento è necessario confermare con un test che il tumore presenta una corrispondente anomalia del gene BRAF.

Il trattamento deve essere avviato e monitorato da personale specializzato che sia dotato di esperienza nel trattamento delle malattie tumorali.

---

## Efficacia

---

L'efficacia di Ojemda è stata valutata in uno studio (FIREFLY-1) su 137 pazienti di età compresa tra 6 mesi e 25 anni il cui tumore cerebrale si era ripresentato dopo precedenti trattamenti o non vi aveva risposto.

Nello studio tutte le persone partecipanti hanno ricevuto il medicamento Ojemda e non c'era un gruppo di confronto con un altro trattamento.

I risultati hanno dimostrato che in gran parte delle/dei pazienti il tumore ha risposto al trattamento. In queste/i pazienti il tumore si è ridotto di dimensioni o non ha mostrato un'ulteriore crescita.

La risposta al trattamento è persistita nel tempo in molte/i pazienti.

---

## Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

---

Ojemda non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie.

Durante il trattamento possono presentarsi diversi rischi. Questi includono in particolare sanguinamenti (incluso sanguinamento nel tumore), rallentamento della crescita nelle bambine e nei bambini, problemi al fegato e reazioni cutanee, compresa una maggiore sensibilità alla luce solare. Per questi motivi sono necessari controlli medici periodici durante il trattamento.

Gli effetti indesiderati più comuni (riguarda più di 1 persona trattata su 10) sono, tra l'altro, cambiamento del colore dei capelli, stanchezza, vomito, cefalea, eruzione cutanea, febbre, cute secca, ritardo di crescita, anemia e varie alterazioni dei valori del sangue (ad es. aumento dei valori di un enzima muscolare o alterazione dei valori epatici).

Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

---

## Motivazione della decisione di omologazione

---

Il glioma pediatrico di basso grado costituisce una parte dei tumori cerebrali nell'infanzia. Le/i pazienti in cui la malattia si ripresenta dopo un precedente trattamento o non risponde ad esso necessitano di ulteriori opzioni di trattamento.

Lo studio ha evidenziato che gran parte delle/dei pazienti ha risposto al trattamento

con Ojemda e il tumore si è ridotto di dimensioni o non ha presentato un'ulteriore crescita.

Nelle/nei bambini di età inferiore ai 2 anni sono disponibili solo dati limitati sulla sicurezza e sull'efficacia. Inoltre, sono necessari ulteriori dati sui possibili effetti a lungo ter-

mine, in particolare sulla crescita e sullo sviluppo. Questi dati aggiuntivi sono attesi dagli studi in corso.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Ojemda superano i rischi.

Il medicamento Ojemda ha ottenuto un'omologazione temporanea in Svizzera (art. 9a legge sugli agenti terapeutici), perché al momento dell'omologazione non

erano ancora disponibili tutti i dati degli studi clinici.

L'omologazione temporanea è subordinata alla presentazione, entro i termini previsti, dei dati clinici in sospeso richiesti da Swissmedic. Questi dati provengono da studi clinici in corso o ancora da completare. Una volta soddisfatte le condizioni per l'omologazione, l'omologazione temporanea potrà essere convertita in un'omologazione senza oneri particolari se la valutazione rischi-benefici dei risultati è positiva.

---

## Maggiori informazioni sul medicamento

---

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

Informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Ojemda®](#)

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.