

Rapporto sintetico di omologazione del 23.09.2025

Scemblix® (principio attivo: asciminib)

Estensione dell'indicazione in Svizzera: 12.05.2025

Comprese rivestite con film per il trattamento di persone adulte con leucemia mieloide cronica positiva al cromosoma Philadelphia in fase cronica con una mutazione T315I.

Informazioni sul medicamento

Scemblix contiene il principio attivo asciminib, impiegato per il trattamento di persone adulte affette da leucemia mieloide cronica positiva al cromosoma Philadelphia (LMC Ph-positiva) in fase cronica (FC).

La LMC Ph-positiva è una forma di cancro del sangue caratterizzata dalla sovrapproduzione di globuli bianchi anomali da parte dell'organismo. La FC rappresenta lo stadio iniziale della LMC. In questa fase della malattia, la maggior parte delle cellule tumorali non è ancora proliferata in modo significativo o aggressivo.

Scemblix è stato omologato il 9.06.2022 da Swissmedic per persone adulte affette da LMC-CP Ph+, quando due o più trattamenti precedenti con altri medicinali non hanno

portato al successo terapeutico desiderato o sono stati scarsamente tollerati. Nel frattempo, l'indicazione è stata estesa per la LMC-CP Ph+ di nuova diagnosi.

Con l'attuale estensione dell'indicazione, Scemblix è ora utilizzabile anche per il trattamento di persone adulte con LMC-CP Ph+ che presentano una determinata alterazione genetica, la mutazione T315I. I portatori di questa mutazione sono refrattari a molti altri trattamenti.

Poiché la LCM Ph-positiva 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

Il principio attivo di Scemblix appartiene al gruppo degli inibitori della tirosin-chinasi (TKI). Scemblix funge da inibitore di un enzima chiamato BCR::ABL1 tirosin-chinasi, che in questa malattia è permanentemente attivato a causa di un'alterazione genetica

e favorisce la crescita delle cellule tumorali. Inibendo questo enzima Scemblix può aiutare a rallentare o fermare la crescita delle cellule tumorali, controllando così i sintomi della malattia.

Impiego

Scemblix è soggetto a prescrizione medica e deve essere prescritto da una medica o da un medico che abbia esperienza nell'applicazione di terapie oncologiche.

Scemblix è disponibile sotto forma di compressa rivestita con film e si assume per via

orale. La posologia raccomandata per pazienti con la mutazione T315I è di 200 mg due volte al giorno a distanza di circa 12 ore. Le compresse devono essere deglutite intere con un bicchiere d'acqua al di fuori dai pasti.

Efficacia

L'efficacia di Scemblix è stata indagata nell'ambito di uno studio intitolato CABL001X2101. Allo studio hanno partecipato complessivamente 70 pazienti con LMC-CP, in cui era presente la mutazione T315I. 48 persone sono state trattate con la dose raccomandata di 200 mg due volte al giorno. La maggioranza delle/dei pazienti aveva ricevuto almeno due precedenti linee terapeutiche con un inibitore della tirosin-

chinasi. Per determinare l'efficacia, è stata misurata principalmente la risposta molecolare (MMR = Major Molecular Response), ossia la riduzione della quantità di BCR::ABL1 sotto un determinato valore massimo.

I risultati hanno mostrato che fino alla 24^a settimana il 42,2% di pazienti ha raggiunto la MMR. Questa quota di MMR è rimasta stabile fino alla settimana 96 con il 48,9%.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

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

Gli effetti indesiderati più comuni sono stati dolori muscoloscheletrici (33%), stanchezza (25%), infezioni delle vie respiratorie superiori (24%), cefalea (22%) e diarrea (20%). Gli effetti collaterali gravi possono includere

anemia (13 %), livello elevato degli enzimi pancreatici (19 %) e ipertensione arteriosa (16 %).

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

In persone adulte affette da LMC-CP Ph+ con una mutazione T315I, molti inibitori della tirosin-chinasi convenzionali non sono efficaci. I tassi di risposta durevoli osservati in questo gruppo di pazienti difficile da trattare sono stati considerati come clinicamente significativi.

Vista la carenza di opzioni terapeutiche ben tollerate, tenendo conto di tutti i rischi e di

tutte le misure precauzionali e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Scemblix superano i rischi. Swissmedic ha quindi omologato per la Svizzera l'estensione dell'indicazione di Scemblix con il principio attivo asciminib per pazienti con LMC-CP Ph+ e una mutazione T315I.

Maggiori informazioni sul medicamento

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

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

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.