

Rapporto sintetico di omologazione del 26.09.2025

VANFLYTA® (principio attivo: quizartinib)

Omologazione in Svizzera: 31.03.2025

Comprese rivestite con film per il trattamento di adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) FLT3-ITD-positiva di nuova diagnosi, in associazione a chemioterapia di induzione standard e chemioterapia di consolidamento standard, seguite da una terapia di mantenimento

Informazioni sul medicamento

VANFLYTA contiene il principio attivo quizartinib e appartiene al gruppo di medicinali denominati inibitori della proteina chinasi, che intervengono in modo mirato nella crescita delle cellule tumorali.

VANFLYTA è utilizzato in pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi in presenza di un'alterazione genetica specifica, la cosiddetta mutazione FLT3-ITD. Questa forma di LMA progredisce rapidamente ed è difficile da trattare. Se non trattata, ha un decorso spesso fatale in breve tempo. La LMA è una delle forme più comuni di leucemia negli adulti.

Prima di poter utilizzare VANFLYTA è necessario determinare mediante un test se la mutazione FLT3-ITD è effettivamente presente.

Il trattamento con VANFLYTA si svolge in più fasi:

- Inizialmente VANFLYTA viene somministrato in combinazione con una chemioterapia standard costituita da citarabina e un'antraciclina (terapia di induzione).
- Segue un'ulteriore chemioterapia con citarabina (terapia di consolidamento).

- Successivamente le pazienti e i pazienti ricevono VANFLYTA da solo come terapia di mantenimento.

VANFLYTA non è impiegato per la terapia di mantenimento dopo il trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche.

Poiché la LMA è una malattia rara e potenzialmente letale, VANFLYTA è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali per le malattie rare.

VANFLYTA è stato omologato 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 VANFLYTA in Svizzera, Swissmedic ha ripreso la valutazione e la decisione di omologazione dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) e dell'autorità statunitense di controllo dei medicinali FDA e ha effettuato solo una valutazione scientifica propria limitata.

Meccanismo d'azione

VANFLYTA contiene il principio attivo quizartinib, che agisce in modo mirato contro le cellule tumorali che presentano una modificazione genetica specifica, la cosiddetta mutazione FLT3-ITD.

Questa mutazione fa sì che la proteina FLT3 (una cosiddetta tirosina chinasi) sia permanentemente attiva. Normalmente FLT3 controlla la crescita e lo sviluppo delle cellule staminali del sangue nel midollo osseo. Tuttavia, se la mutazione altera l'attività della

proteina, si verificano una crescita e una proliferazione incontrollata di globuli bianchi immaturi con conseguente insorgenza di leucemia mieloide acuta (LMA).

Il quizartinib blocca in modo mirato questa proteina FLT3 mal regolata, inibendo così la crescita delle cellule leucemiche.

In combinazione con la chemioterapia, VANFLYTA può quindi aiutare a ridurre notevolmente il numero di cellule leucemiche.

Impiego

VANFLYTA è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile in compresse rivestite con film.

Il trattamento con VANFLYTA si svolge in più fasi:

- Fase di induzione (trattamento iniziale): in questa prima fase di trattamento vengono assunte due compresse da 17,7 mg (per un totale di 35,4 mg) al giorno per due settimane in ogni ciclo di trattamento in associazione con la chemioterapia.
- Fase di consolidamento (fase di stabilizzazione): il dosaggio rimane lo stesso,

ossia 35,4 mg al giorno per periodi determinati, vale a dire per due settimane in ogni ciclo di trattamento in associazione con la chemioterapia.

- Terapia di mantenimento: una volta completate le fasi di trattamento precedenti, inizia la terapia di mantenimento. Inizialmente vengono assunti 26,5 mg al giorno. Se non si verificano effetti collaterali gravi, in particolare nessun cambiamento evidente nell'intervallo QT¹, si può aumentare la dose a 53 mg al giorno (due compresse da 26,5 mg).

Efficacia

L'efficacia di VANFLYTA è stata valutata nello studio rilevante ai fini dell'omologazione denominato QuANTUM-First. Questo

studio ha confrontato VANFLYTA in combinazione con la chemioterapia standard per la LMA FLT3-ITD-positiva di nuova diagnosi

¹ Intervallo QT: l'intervallo QT è un tratto dell'ECG (elettrocardiogramma) che misura il tempo in cui il cuore si «ricarica» elettricamente dopo un battito cardiaco.

Il prolungamento dell'intervallo QT può aumentare il rischio di pericolose aritmie cardiache.

con un placebo (trattamento fittizio) in combinazione con la chemioterapia standard (braccio di controllo). Allo studio hanno partecipato complessivamente 539 pazienti adulte/i di età compresa tra i 18 e i 75 anni.

Lo studio ha dimostrato che le pazienti e i pazienti trattati con VANFLYTA avevano una sopravvivenza globale (OS)² significativamente più lunga rispetto al braccio di controllo. La sopravvivenza globale mediana³ è

stata di 31,9 mesi nel gruppo VANFLYTA rispetto a 15,1 mesi nel braccio di controllo.

Sono state effettuate ulteriori analisi di sottogruppo della sopravvivenza globale (OS). Nelle pazienti e nei pazienti che hanno ricevuto VANFLYTA come terapia di mantenimento dopo un trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche non è stato possibile dimostrare alcun vantaggio per quanto riguarda l'OS rispetto al braccio di controllo (HR OS 1,62 [IC 95%: 0,62, 4,22]).

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

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

VANFLYTA può prolungare l'intervallo QT⁴ del cuore, il che può essere causa di gravi aritmie cardiache e persino di arresto cardiaco. Prima del trattamento, e a intervalli periodici durante il trattamento, le pazienti e i pazienti devono essere sottoposti a ECG e a monitoraggio dei livelli di potassio e magnesio nel sangue. A questo riguardo è stata aggiunta un'avvertenza specifica (Boxed Warning).

Inoltre, risulta aumentato il rischio di infezioni fatali soprattutto nelle pazienti e nei pazienti anziani e, in particolare, nella fase iniziale del trattamento. Durante l'induzione, le pazienti e i pazienti dovrebbero essere attentamente monitorati per rilevare l'eventuale insorgenza di infezioni gravi.

Gli effetti indesiderati più comuni (riguardano più del 10% delle pazienti e dei pazienti) sono infezioni, linfocitopenia (bassi livelli di linfociti, un tipo di globuli bianchi),

leucopenia (bassi livelli di globuli bianchi), anemia (bassi livelli di globuli rossi), trombocitopenia (bassi livelli di piastrine), bassi livelli di potassio nel sangue, sanguinamenti, neutropenia (bassi livelli di neutrofili, un tipo di globuli bianchi), nausea, febbre, diarrea, bassi livelli di magnesio nel sangue, anomalie agli esami del sangue (aumento della bilirubina nel sangue, alterazioni degli enzimi epatici), vomito, dolore addominale, stomatite (lesioni in bocca o intorno alla bocca), edema (gonfiore del viso, delle braccia e delle gambe), mal di testa, affaticamento (stanchezza), eruzione cutanea, infiammazione del polmone, infezioni delle vie respiratorie superiori (infezioni del naso e della gola), appetito ridotto, sepsi (infezione grave), infezioni da funghi e infezioni da Herpes virus.

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.

² Sopravvivenza globale (OS): per sopravvivenza globale (overall survival) s'intende l'intervallo di tempo tra l'inizio della terapia e il decesso della paziente o del paziente.

³ Mediana: il valore che occupa esattamente la posizione centrale nella distribuzione dei dati si chiama «mediana» o «valore mediano». Una metà dei dati ha un valore minore e l'altra un valore maggiore rispetto alla mediana.

⁴ Intervallo QT: l'intervallo QT è il tempo necessario al cuore per «ricaricarsi» elettricamente dopo un battito. Un suo prolungamento è quindi un cambiamento nell'attività elettrica del cuore.

Motivazione della decisione di omologazione

Attualmente esiste una scelta limitata di opzioni terapeutiche per le pazienti e i pazienti con leucemia mieloide acuta (LMA) con mutazione FLT3-ITD di nuova diagnosi. Questa mutazione è associata a una prognosi più sfavorevole. VANFLYTA risponde a questa esigenza, perché si lega in modo mirato al recettore FLT3 alterato dalla mutazione ITD, inibendone l'attività. Lo studio descritto ha dimostrato che il trattamento con VANFLYTA porta a un miglioramento significativo della sopravvivenza globale nelle pazienti e nei pazienti sottoposti a terapia di

mantenimento che non hanno ricevuto un precedente trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di VANFLYTA superano i rischi. Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento VANFLYTA con il principio attivo quizartinib per il trattamento di pazienti adulte/i con leucemia mieloide acuta (LMA) FLT3-ITD-positiva di nuova diagnosi.

Maggiori informazioni sul medicamento

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

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

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.