

Rapporto sintetico di omologazione del 21.01.2025

## Casgevy® (principio attivo: exagamglogene)

Omologazione temporanea in Svizzera: 06.09.2024

Dispersione per infusione per il trattamento di pazienti di età pari o superiore 12 anni con  $\beta$ -talassemia (TDT) e di pazienti di età pari o superiore a 12 anni con anemia falciforme (SCD)

---

### Informazioni sul medicamento

---

Casgevy contiene il principio attivo exagamglogen.

Casgevy è un medicamento utilizzato per il trattamento delle malattie del sangue chiamate  $\beta$ -talassemia (TDT) e anemia falciforme (SCD), in pazienti di età pari o superiore a 12 anni.

Nel caso di  $\beta$ -talassemia, Casgevy è utilizzato in pazienti che necessitano regolarmente di trasfusioni di sangue. Le persone colpite da questa malattia non producono una quantità sufficiente di emoglobina, la proteina presente nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno attraverso il corpo. Di conseguenza, queste/i pazienti hanno una bassa concentrazione di globuli rossi e necessitano spesso di trasfusioni di sangue.

In caso di anemia falciforme, Casgevy si utilizza in pazienti con patologia grave accompagnata da crisi dolorose recidivanti. Nelle persone colpite da questa malattia l'emoglobina assume una forma anomala che rende i globuli rossi rigidi e appiccicosi e ne cambia la forma da disco a mezzaluna (come una falce). Queste cellule possono bloccare i vasi sanguigni e causare crisi dolorose che colpiscono il torace, l'addome e altre parti del corpo.

Poiché la  $\beta$ -talassemia e l'anemia falciforme sono malattie rare potenzialmente letali, il medicamento Casgevy è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Swissmedic ha omologato Casgevy 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 Casgevy in Svizzera, Swissmedic ha ripreso la valutazione e la decisione di omologazione dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) 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: EMA Procedure Number EMEA/H/C/005763/0000 [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu).

Il medicamento Casgevy ha ottenuto un'omologazione temporanea in Svizzera (art. 9a LATer) perché al momento dell'omologazione non erano ancora disponibili o conclusi tutti gli studi clinici. L'omologazione temporanea è necessariamente vincolata alla presentazione tempestiva dei dati supplementari richiesti da Swissmedic. 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 Casgevy®](#)

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

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.