

Rapporto sintetico di omologazione del 12.11.2024

## Givlaari® (principio attivo: givosiran)

Omologazione in Svizzera: 29.03.2021

Soluzione iniettabile indicata per il trattamento della porfiria epatica acuta (Acute hepatic porphyria, AHP) in pazienti adulte/i e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni.

---

### Informazioni sul medicamento

---

Givlaari contiene il principio attivo givosiran ed è indicato per il trattamento della porfiria epatica acuta in pazienti adulte/i e adolescenti a partire dai 12 anni di età.

La porfiria epatica acuta è una malattia rara che si trasmette all'interno delle famiglie. È causata da un difetto in una delle proteine che formano una molecola nel fegato, chiamata eme. Questo difetto fa sì che si crei un accumulo di alcune sostanze utilizzate per produrre l'eme, ossia l'acido aminolevulinico (ALA) e il porfobilinogeno (PBG). Una quantità eccessiva di ALA e PBG può danneggiare i nervi e causare gravi attacchi dolorosi, nausea, debolezza muscolare e alterazioni dell'attività mentale. Alcune persone affette da porfiria epatica acuta possono anche presentare sintomi quali dolore e nausea tra un attacco e l'altro. Le complicanze a lungo termine che possono essere osservate in persone con porfiria epatica acuta includono ipertensione arteriosa nonché patologie epatiche e renali croniche.

Givlaari agisce diminuendo la quantità di un enzima chiamato ALAS1 che controlla la quantità di ALA e PBG prodotte dal fegato. Riducendo il livello di ALAS1 nel corpo, il fe-

gato produce meno ALA e PBG. Questo meccanismo può aiutare a ridurre gli effetti della malattia.

Poiché l'AHP 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 Givlaari 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 Givlaari in Svizzera, Swissmedic ha ripreso la valutazione e la decisione di omologazione dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA; Reference Number EMA/62114/2020; EMEA/H/C/004775) 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](http://www.ema.europa.eu).

---

## Maggiori informazioni sul medicamento

---

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

Informazione destinata ai pazienti (foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti di Givlaari®](#)

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.