

Rapporto sintetico di omologazione del 18.10.2024

Voydeya[®] (principio attivo: danicopan)

Omologazione in Svizzera: 30.04.2024

Comprese rivestite con film per il trattamento aggiuntivo dell'emolisi extravascolare (EE) clinicamente rilevante in pazienti adulte/i affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN).

Informazioni sul medicamento

Voydeya contiene il principio attivo danicopan. È indicato per il trattamento dell'emolisi extravascolare (EE) clinicamente rilevante in pazienti adulte/i affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN). In precedenza, le/i pazienti avevano ricevuto un trattamento di almeno 6 mesi con un cosiddetto inibitore C5, un altro tipo di medicamento contro l'EPN che tratta l'emolisi intravascolare. Le pazienti e i pazienti ricevono Voy-

deya in aggiunta al loro attuale medicamento contro l'EPN (l'inibitore C5 ravulizumab o eculizumab).

I segni o sintomi che possono manifestarsi con l'emolisi extravascolare sono l'anemia e i sintomi ad essa correlati, come stanchezza e fiato corto.

Poiché la EPN è una malattia rara potenzialmente letale, il medicamento è stato omologato come medicamento orfano. Sono definiti «orfani» i medicamentos importanti per malattie rare.

Meccanismo d'azione

Voydeya contiene il principio attivo danicopan. Danicopan blocca una proteina chiamata fattore D, che fa parte del sistema di difesa dell'organismo, il cosiddetto «sistema

del complemento». Danicopan impedisce al sistema immunitario dell'organismo di distruggere i globuli rossi al di fuori del sistema vascolare (emolisi extravascolare).

Impiego

Voydeya è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile in compresse rivestite con film nelle dosi da 50 mg o 100 mg di danicopan. La dose iniziale raccomandata è di 150 mg tre volte al giorno a intervalli di circa 8 ore. Le compresse devono essere degluite

intere. Le compresse possono essere assunte con o senza cibo.

Sulla base della risposta, dopo almeno 4 settimane di trattamento, la dose può essere aumentata su indicazione del medico o della medica a 200 mg di Voydeya tre volte al

giorno. Voydeya deve essere assunto in aggiunta al medicamento attualmente prescritto contro l'EPN (ravulizumab o eculizumab).

L'EPN è una patologia cronica. Di conseguenza, le/i pazienti dovranno assumere la terapia aggiuntiva per tutta la vita a meno che l'interruzione di Voydeya non sia indicata per motivi medici.

Efficacia

L'efficacia di Voydeya come terapia aggiuntiva a ravulizumab o eculizumab in pazienti adulte/i con EPN ed EE clinicamente rilevante è stata valutata nello studio ALXN2040-PNH-301. Allo studio hanno partecipato 86 pazienti affette/i da EPN che erano state/i trattate/i con una dose stabile di ravulizumab o eculizumab per almeno i 6 mesi precedenti e avevano un'anemia (emoglobina [Hb] \leq 9,5 g/dL) con o senza supporto trasfusionale. In associazione al trattamento di base con ravulizumab o eculizumab, le/i partecipanti allo studio hanno ricevuto per 12 settimane Voydeya o un placebo (medicamento fittizio) e per altre 12 settimane tutte e tutti i

pazienti sono stati trattati con Voydeya in aggiunta al trattamento di base.

Voydeya come terapia aggiuntiva ha determinato, rispetto al trattamento con placebo, un aumento statisticamente significativo e clinicamente rilevante del valore di Hb dal basale alla settimana 12.

Nel gruppo trattato con Voydeya, il 59,5% delle/dei pazienti ha avuto un aumento dell'emoglobina $>$ 2,0 g/dL rispetto allo 0% del gruppo placebo.

Inoltre, nel gruppo Voydeya la trasfusione è stata evitata nell'83,3% delle/dei pazienti rispetto al 38,1% del gruppo placebo.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

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

Gli effetti indesiderati più comuni (riguardano più di 1 persona su 10) sono febbre o temperatura corporea elevata, cefalea, diarrea, nausea, infezioni delle vie respiratorie superiori, affaticamento, vomito, mal di gola, dolore alle articolazioni, dolore alle

braccia e alle gambe, aumento dei livelli degli enzimi epatici nel sangue, diminuzione dei globuli rossi (anemia).

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

Motivazione della decisione di omologazione

Lo studio condotto ha mostrato un miglioramento significativo e clinicamente rilevante del livello di emoglobina nelle pazienti e nei pazienti trattati con Voydeya.

Nonostante il numero ridotto di pazienti e la durata relativamente breve della fase di osservazione, l'efficacia è ritenuta convincente e il profilo di sicurezza è considerato accet-

tabile. Data la rarità della malattia e le esigenze mediche esistenti, i benefici di questo medicamento superano i rischi associati.

Swissmedic ha pertanto omologato per la Svizzera il medicamento Voydeya contenente il principio attivo danicopan come trattamento aggiuntivo per pazienti affette/i da EPN con EE clinicamente significativa.

Maggiori informazioni sul medicamento

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

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

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.