

Public Summary SwissPAR del 06.08.2024

Welireg® (principio attivo: belzutifan)

Omologazione temporanea in Svizzera: 21.03.2024

Medicamento (comprese rivestite con film) per la monoterapia di persone adulte con sindrome di Von Hippel Lindau (VHL) che necessitano di un trattamento per un tipo di tumore correlato alla sindrome di VHL e per i quali non è necessario un intervento chirurgico immediato.

Informazioni sul medicamento

La sindrome di Von Hippel Lindau (VHL) è una malattia ereditaria. Le persone colpite dalla sindrome di VHL, si ammalano spesso di cancro. I tumori nei reni, nel cervello e nel midollo spinale o nel pancreas sono le tipologie di tumori più comuni. In particolare i tumori renali sono maligni e possono formare metastasi, il che può essere potenzialmente letale per le pazienti e i pazienti.

Il medicamento Welireg con il principio attivo belzutifan è usato per il trattamento di persone adulte con la sindrome di VHL, che necessitano di un trattamento per tumori del rene, il cosiddetto carcinoma a cellule renali, del cervello e del midollo spinale, i cosiddetti emangioblastomi del sistema nervoso centrale, o del pancreas, i cosiddetti tumori neuroendocrini pancreatici, legati alla sindrome di VHL, e per i quali non è necessario un intervento chirurgico immediato.

Poiché la sindrome di VHL è una malattia rara potenzialmente letale, Welireg è stato omologato come medicamento orfano.

Sono definiti «orfani» i medicinali importanti per malattie rare.

Welireg 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. 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 Welireg in Svizzera, Swissmedic ha ripreso in parte la valutazione dell'autorità britannica (MHRA) e dell'autorità di controllo dei medicinali statunitense (FDA).

Meccanismo d'azione

Il principio attivo belzutifan è un inibitore del cosiddetto fattore inducibile da ipossia 2 alfa (HIF-2 α)¹. Belzutifan si lega all'HIF-2 α e blocca così i meccanismi di regolazione in

geni specifici che possono causare la formazione di tumori. Grazie a questo meccanismo d'azione, si può rallentare o fermare la crescita del tumore in pazienti con sindrome di VHL.

Impiego

Welireg con il principio attivo belzutifan è soggetto a prescrizione medica.

Welireg è disponibile sotto forma di compresse rivestite con film da 40 mg. La dose raccomandata è di 120 mg (3 compresse rivestite con film da 40 mg) al giorno. Le compresse rivestite con film non devono essere masticate e possono essere assunte indipendentemente dai pasti.

Il trattamento con Welireg viene avviato e seguito da un operatore sanitario con esperienza nell'impiego di terapie antitumorali.

La medica o il medico raccomanderanno alle pazienti e ai pazienti di continuare la terapia fino a quando la malattia progredisce ulteriormente o fino a quando si manifestano gravi effetti collaterali.

Le donne in età fertile dovrebbero usare un metodo contraccettivo altamente efficace durante il trattamento con Welireg e per almeno 1 settimana dopo l'ultima dose, poiché il principio attivo belzutifan può danneggiare il nascituro.

Efficacia

L'efficacia di belzutifan è stata verificata in uno studio clinico di fase 2 in aperto presso un totale di 61 pazienti con sindrome di VHL.

Le persone che hanno partecipato allo studio erano affette almeno da un tumore al rene che non richiedeva un intervento chirurgico immediato. Le pazienti e i pazienti inclusi nello studio avevano inoltre ulteriori tumori causati da VHL. Nessuno dei tumori aveva formato metastasi.

Le persone partecipanti allo studio hanno ricevuto 120 mg di belzutifan una volta al giorno per almeno 3 anni.

Lo studio ha potuto dimostrare che nelle persone trattate il 64% dei tumori causati dalla sindrome di VHL si è ridotto. Inoltre, lo studio ha potuto dimostrare che dopo 36 mesi, nell'86,3% delle persone partecipanti non si è verificata alcuna progressione dei tumori legati alla VHL.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Welireg non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi sostanza ausiliaria. Al momento della decisione di omologazione, gli effetti indesiderati più comuni erano anemia

(83,2%), stanchezza e affaticamento (42,7%), nausea (24,1%), affanno respiratorio o fiato corto (21,4%), vertigini (17,9%) e carenza di ossigeno nel corpo (16,3%).

¹Fattore inducibile da ipossia 2 alfa: una proteina regolatrice, che può innescare meccanismi specifici nei geni legandosi a regioni nel DNA.

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

Attualmente non esiste alcuna possibilità di trattamento farmacologico per pazienti con la sindrome di VHL che soffrono di tumori che non richiedono un intervento chirurgico immediato.

Lo studio clinico ha mostrato che in circa il 64% delle persone trattate, i tumori legati a VHL si sono ridotti e nella maggior parte delle pazienti e dei pazienti è stato possibile ritardare la progressione dei tumori.

La terapia con Welireg di queste pazienti e questi pazienti è quindi promettente. Tuttavia, sono necessari ulteriori dati per confermare i risultati.

Il medicamento Welireg 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 Welireg®](#)

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

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 Public Summary SwissPAR.

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.