

Settembre 2011

ROMIPLOSTIM (Nplate):

Importanti informazioni di sicurezza sul rischio di progressione della malattia a Leucemia Mieloide Acuta (LMA in pazienti affetti da Sindrome Mielodisplastica (SMD) con l'utilizzo di romiplostim (Nplate)

, Gentile Dottoressa, Egregio Dottore

In sintesi

- **Sulla base dei dati disponibili di uno studio clinico randomizzato in soggetti con trombocitopenia associata a sindrome mielodisplastica (SMD), sono stati osservati un aumento numerico dei casi di progressione di malattia da SMD a leucemia mieloide acuta (LMA) ed un aumento transitorio della conta dei blasti nei pazienti trattati con romiplostim (Nplate) rispetto al placebo.**
- **Il rapporto beneficio/rischio positivo per Nplate è stabilito solo per il trattamento della trombocitopenia associata a porpora trombocitopenica immunitaria (idiopatica) cronica (PTI); Nplate non deve essere usato in altre condizioni cliniche associate a trombocitopenia.**
- **La diagnosi di PTI nei soggetti adulti ed anziani deve essere confermata dalla esclusione di altre patologie che si manifestano con trombocitopenia. Deve essere esclusa la diagnosi di SMD.**
- **Prima di iniziare la terapia con Nplate e durante il corso della malattia e del trattamento, devono normalmente essere eseguiti un aspirato e biopsia midollare per escludere una SMD, in particolare nei pazienti con più di 60 anni di età ed in quelli con sintomi sistemici o segni anormali come aumento delle cellule blastiche circolanti.**

Ulteriori informazioni riguardo le problematiche di sicurezza

Romiplostim (Nplate) è indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica immunitaria (idiopatica) cronica (PTI) splenectomizzati che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline), e può essere preso in considerazione come trattamento di seconda linea nei pazienti adulti non-splenectomizzati per i quali l'intervento chirurgico è controindicato.

In data 18 febbraio 2011, il Comitato Indipendente per il Monitoraggio dei Dati (Independent Data Monitoring Committee) per uno studio clinico randomizzato con Nplate in pazienti affetti da sindrome mielodisplastica (SMD) con trombocitopenia, ha raccomandato di interrompere Nplate in tutti i pazienti a causa di un aumento del rischio di progressione a leucemia mieloide acuta (LMA).

In questo studio, ci sono stati più soggetti nel braccio di Nplate progrediti a LMA (placebo 2, Nplate 9) e con un aumento della conta delle cellule blastiche circolanti superiore al 10% (placebo 3, Nplate 25). La randomizzazione Nplate:placebo era 2:1, rispettivamente. Tra i casi di progressione di SMD a LMA osservati, i pazienti con SMD classificata RAEB-1 al baseline avevano una più alta probabilità di progredire a LMA, rispetto ai pazienti con SMD a rischio inferiore.

Sulla base dei dati disponibili di questo studio, ed in accordo con L'Agencia Europea dei Medicinali, si ricorda che Nplate non deve essere impiegato per il trattamento della trombocitopenia da SMD o da qualunque altra causa di trombocitopenia diversa dalla PTI, al di fuori di studi clinici. Un rapporto beneficio/rischio positivo per Nplate è stabilito solo per il trattamento della trombocitopenia associata a PTI cronica. La diagnosi di PTI deve essere confermata dall'esclusione di altre patologie che si manifestano con trombocitopenia. La diagnosi di SMD deve essere esclusa. Inoltre, prima di iniziare il trattamento con Nplate devono normalmente essere stati eseguiti un aspirato e biopsia midollare per escludere una SMD.

Il materiale informativo per Nplate è stato aggiornato con le informazioni sull'aumento del rischio di progressione a leucemia mieloide acuta (LMA) nei pazienti trattati con Nplate (vedi allegati).

Queste informazioni sono state concordate con l'Agencia Europea dei Medicinali (EMA).

Come inviare le segnalazioni di sospette reazioni avverse

Qualsiasi Reazione Avversa associata all'utilizzo di Nplate deve essere inviata alla struttura sanitaria cui Lei appartiene (in conformità con la legislazione vigente in Italia) mediante la compilazione della scheda di segnalazione di sospetta reazione avversa.

L'AIFA coglie l'occasione per ricordare a tutti gli Operatori Sanitari l'importanza della segnalazione delle sospette reazioni avverse da farmaci, quale strumento indispensabile per confermare un rapporto beneficio rischio favorevole nelle reali condizioni di impiego.

La presente Nota Informativa viene anche pubblicata sul sito dell'AIFA (www.agenziafarmaco.it) la cui consultazione regolare è raccomandata per la migliore informazione professionale e di servizio al cittadino.