

COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România prezintă în cele ce urmează traducerea și adaptarea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene pentru Medicamente (European Medicines Agency - EMA):

Primul tratament recomandat pentru bolile autoimune rare asociate cu imunoglobulina

18 Septembrie 2025
EMA/CHMP/66253/2025

Medicamentul Uplizna a redus semnificativ numărul de recidive la pacienții cu boală autoimună rară asociată cu imunoglobulina G4

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a recomandat extinderea indicației terapeutice a medicamentului Uplizna (inebilizumab), pentru a include tratamentul pacienților adulți cu boală activă asociată cu imunoglobulina G4 (IgG4-RD imunoglobulin G4-related disease).

IgG4-RD este o boală autoimună rară, cronică (o boală cauzată de propriul sistem de apărare al organismului, care atacă țesutul normal), care poate provoca fibroză (cicatrizare tisulară) și inflamații la nivelul unui sau mai multor organe. Pacienții cu IgG4-RD prezintă semne și simptome noi sau agravate, la nivelul unui sau mai multor organe. Consecințele inflamației se manifestă treptat sau acut și pot duce la apariția unor leziuni și disfuncții ireversibile ale organelor. IgG4-RD afectează, de obicei, persoanele cu vârsta cuprinsă între 40 și 60 de ani.

În prezent, nu există medicamente autorizate în UE pentru tratamentul adulților cu boală autoimună rară asociată cu imunoglobulina G4 (IgG4), iar pacienții sunt tratați în mod obișnuit cu glucocorticoizi și alte medicamente imunomodulatoare. Unii pacienți prezintă reduceri semnificative ale dimensiunii leziunilor și o îmbunătățire a rezultatelor testelor de laborator, însă alții nu reușesc să ajungă la remisie completă sau recidivează în decurs de un an. În plus, este mai probabilă apariția reacțiilor adverse asociate cu utilizarea glucocorticoizilor, inclusiv hipertensiune arterială, valori crescute ale glicemiei, osteoporoză (subțiere a oaselor), un sistem imunitar slăbit și slăbiciune musculară, la pacienții mai vârstnici. Prin urmare, există o nevoie medicală crescută, nesatisfăcută, de tratamente care să evite utilizarea de steroizi la pacienții cu boală autoimună rară asociată cu imunoglobulina G4 (IgG4).

Medicamentul Uplizna conține inebilizumab, un anticorp monoclonal (un tip de proteină) care se atașează de celulele imune numite celule B, distrugându-le. Acest medicament este deja aprobat pentru tratarea pacienților cu tulburare din spectrul neuromielitei optice (TSNMO).

CHMP și-a bazat recomandarea pe evaluarea datelor privind eficacitatea și siguranța dintr-un studiu clinic de fază 3, randomizat, dublu-orb, cu durata de 52 de săptămâni, efectuat la 135 de pacienți adulți cu IgG4-RD activă, cărora li s-a administrat intravenos fie medicamentul Uplizna, fie placebo corespunzător în ziua 1, ziua 15 și săptămâna 26. Timpul median până la prima recidivă tratată a IgG4-RD a fost semnificativ mai îndelungat la pacienții cărora li s-a administrat Uplizna. În mod similar, dintre cei 68 de pacienți cărora li s-a administrat Uplizna, doar șapte au fost tratați pentru recidiva RD IgG4, comparativ cu 40 dintre cei 67 de pacienți la care s-a administrat placebo. În plus, 58,8% dintre pacienții cărora li s-a administrat Uplizna au obținut remisie completă fără utilizare de corticosteroizi, fără recidive (o perioadă fără simptome ale bolii, după tratament) în săptămâna 52, comparativ cu 22,4% dintre pacienții la care s-a administrat placebo.

Profilul de siguranță al medicamentului Uplizna la pacienții cu IgG4 RD sau la pacienții cu tulburare din spectrul neuromielitei optice (TSNMO) a fost în general similar. Cele mai frecvente reacții adverse au fost infecțiile (inclusiv infecțiile tractului urinar, rinofaringita și infecțiile tractului respirator superior), durerile articulare, durerile de spate și număr scăzut de limfocite (un tip de leucocite).

Opinia adoptată de CHMP reprezintă un pas intermediar pe traseul medicamentului Uplizna către accesul pacienților. Opinia va fi transmisă Comisiei Europene, în vederea adoptării unei decizii privind extinderea indicației terapeutice la nivel UE. Odată ce extinderea a fost acordată, deciziile privind prețul și rambursarea vor avea loc la nivelul fiecărui stat membru, ținând cont de rolul potențial sau de utilizarea acestor medicamente, în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note

1. Acest comunicat de presă, împreună cu toate documentele aferente, este disponibil pe website-ul Agenției.
2. Deținătorul autorizației de punere pe piață pentru Medicamentul Uplizna este Amgen Europe B.V.