EMADOC-1829012207-57603
EMEA/H/C/002695

Iclusig (*ponatinib*)

Sintesi in linguaggio semplice di Iclusig e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Iclusig e per cosa si usa?

Iclusig è un medicinale antitumorale usato da solo per il trattamento dei seguenti tipi di leucemia (cancro dei globuli bianchi):

- leucemia mieloide cronica (LMC) in tutte le fasi (cronica, accelerata o blastica) negli adulti e in fase cronica in bambini e adolescenti dai 6 anni di età (LMC-FC). Iclusig è usato quando il trattamento con dasatinib o nilotinib (altri medicinali antitumorali) non è risultato efficace o quando questi medicinali non sono indicati a causa degli effetti indesiderati e imatinib (un altro medicinale antitumorale) non è idoneo, o ancora quando il cancro presenta una variazione nel gene *BCR-ABL1* denominata mutazione T3151;
- leucemia linfoblastica acuta (LLA) quando il cancro è positivo per il cromosoma Philadelphia (Ph+). Ph+ significa che alcuni geni del paziente si sono riorganizzati per formare un cromosoma anomalo all'origine della leucemia. Iclusig è usato quando il trattamento con dasatinib non è risultato efficace o quando dasatinib non è indicato a causa di effetti indesiderati e imatinib non è idoneo, o ancora quando il cancro presenta una variazione nel gene *BCR-ABL1* denominata mutazione T3151;
- Iclusig è usato in associazione a chemioterapia a intensità ridotta, meno tossica rispetto alla chemioterapia standard, per il trattamento di adulti con LLA di nuova diagnosi, quando il cancro è Ph+.

Iclusig contiene il principio attivo ponatinib.

Come si usa Iclusig?

Iclusig può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da un medico esperto nella diagnosi e nel trattamento della leucemia.

Iclusig è disponibile sotto forma di compresse e di capsule da assumere per via orale una volta al giorno. Il trattamento è somministrato fintanto che il paziente ne trae beneficio. Se il paziente lamenta determinati effetti indesiderati gravi, il medico può decidere di ridurre la dose o di interrompere il trattamento temporaneamente o definitivamente. Ai pazienti affetti da LLA Ph+ di nuova diagnosi viene inizialmente somministrato Iclusig in associazione a chemioterapia a intensità ridotta e successivamente Iclusig da solo.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 ● 1083 HS Amsterdam ● The Netherlands
Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000 An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Poiché Iclusig può causare coaguli di sangue o ostruzioni nelle arterie e nelle vene, il medico deve valutare lo stato di salute del cuore e dei vasi sanguigni del paziente prima e durante il trattamento. Il trattamento deve essere interrotto immediatamente in caso di ostruzione di un'arteria o di una vena.

Per maggiori informazioni sull'uso di Iclusig, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Iclusig?

Il principio attivo contenuto in Iclusig, ponatinib, appartiene a una classe di medicinali denominati "inibitori della tirosina-chinasi". Questi composti agiscono inibendo alcuni enzimi noti come tirosina-chinasi. Ponatinib agisce bloccando una tirosina-chinasi denominata BCR-ABL. Questo enzima si trova sulla superficie delle cellule leucemiche e concorre a stimolarle a dividersi in maniera incontrollata. Bloccando BCR-ABL Iclusig aiuta a controllare la crescita e la diffusione delle cellule leucemiche.

Quali benefici di Iclusig sono stati evidenziati negli studi?

Iclusig è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale effettuato su 449 adulti con LMC o LLA Ph+ che erano intolleranti o resistenti al trattamento con dasatinib o nilotinib o ancora che avevano la mutazione T315I. Nel corso dello studio Iclusig non è stato confrontato con altri trattamenti. La risposta al trattamento è stata valutata misurando la percentuale di pazienti che hanno avuto una "risposta ematologica maggiore" (quando il numero di globuli bianchi ritorna a livelli normali o quando non c'è segno di leucemia) o una "risposta citogenetica maggiore" (quando la percentuale di globuli bianchi contenenti il cromosoma Philadelphia scende al di sotto del 35 %).

Lo studio ha evidenziato che con il trattamento con Iclusig si ottenevano risposte clinicamente rilevanti in tutti i gruppi di pazienti. Tra i pazienti con LMC in fase cronica, circa il 54% (144 su 267) ha avuto una risposta citogenetica maggiore. Circa il 58 % (48 su 83) ha avuto una risposta ematologica maggiore nella fase accelerata e circa il 31 % (19 su 62) nella fase blastica. Tra i pazienti con LLA Ph+ in fase accelerata, circa il 41 % (13 su 32) ha avuto una risposta ematologica maggiore.

Dai dati di uno studio ancora in corso su 10 bambini e adolescenti di età compresa tra i 6 e i 18 anni affetti da LMC-FC che erano intolleranti o resistenti al trattamento con dasatinib, imatinib o nilotinib, oppure che avevano la mutazione T315I è emerso che, entro 12 mesi dal trattamento con Iclusig, il 90% (9 su 10) dei pazienti ha ottenuto una risposta citogenetica maggiore.

Uno studio principale condotto su 245 adulti ha evidenziato che Iclusig, in associazione a chemioterapia a intensità ridotta, è efficace nel trattamento della LLA Ph+. In questo studio i pazienti sono stati sottoposti a chemioterapia a intensità ridotta in associazione a Iclusig o imatinib.

La principale misura dell'efficacia era la percentuale di soggetti che presentavano una risposta completa (nessun segno rilevabile di cancro) e nessuna malattia minima residua (quando un numero molto ridotto di cellule tumorali rimane nell'organismo dopo il trattamento). Al termine del trattamento di induzione con Iclusig e chemioterapia a intensità ridotta, circa il 34 % dei soggetti (53 su 154) ha manifestato una risposta completa senza malattia minima residua, rispetto a circa il 17 % dei pazienti (13 su 78) trattati con imatinib e chemioterapia a intensità ridotta. Non erano ancora disponibili informazioni sulla sopravvivenza complessiva.

Gli studi effettuati con Iclusig sono descritti più dettagliatamente nelle relazioni di valutazione del medicinale pubblicate.

Quali sono i rischi associati a Iclusig?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati di Iclusig, vedere il foglio illustrativo.

Nell studio principale effettuato su 449 pazienti adulti con LMC o LLA Ph+ gli effetti indesiderati gravi più comuni di Iclusig (che possono riguardare più di 2 persone su 100) comprendono infezione polmonare, pancreatite (infiammazione del pancreas), piressia (febbre), dolore addominale (mal di pancia), infarto miocardico (attacco cardiaco), fibrillazione atriale (contrazioni irregolari e scoordinate delle camere superiori del cuore), arteriopatia occlusiva periferica (problema a livello del flusso sanguigno nelle arterie), anemia (bassi livelli di globuli rossi), angina pectoris (dolori al torace, alla mandibola e alla schiena dovuti a problemi di flusso sanguigno al cuore), riduzione dei livelli di piastrine (componenti che aiutano il sangue a coagulare), neutropenia febbrile (febbre con basso livello di neutrofili, un tipo di globuli bianchi), ipertensione (pressione del sangue elevata), malattia coronarica (malattia cardiaca causata da restringimento o ostruzione dei vasi sanguigni che irrorano il muscolo cardiaco), insufficienza cardiaca congestizia (in cui il cuore non funziona come dovrebbe), accidente cerebrovascolare (ictus), sepsi (quando nel sangue circolano batteri e le loro tossine, con conseguente danno agli organi), cellulite (infiammazione del tessuto cutaneo profondo), lesione renale acuta (danno ai reni), infezione delle vie urinarie (infezione delle parti dell'organismo che raccolgono ed eliminano l'urina) e aumento dei livelli di lipasi (un tipo di enzima).

Le occlusioni arteriose (coaguli o ostruzioni nelle arterie) possono riguardare più di 1 persona su 5 e quelle gravi 1 persona su 5. Le occlusioni venose gravi (coaguli o ostruzioni nelle vene) possono riguardare fino a 1 persona su 20. Le reazioni tromboemboliche venose (problemi dovuti a coaguli di sangue nelle vene) possono riguardare fino a 1 persona su 10.

Perché Iclusig è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Iclusig sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE. È stato dimostrato che Iclusig è un trattamento efficace per gli adulti affetti da LMC, per bambini e adolescenti dai 6 anni di età affetti da LMC-FC e per gli adulti affetti da LLA Ph+, che dispongono di opzioni terapeutiche limitate.

In merito alla sicurezza, gli effetti indesiderati rilevati con Iclusig erano in gran parte simili a quelli di altri inibitori della tirosina-chinasi e perlopiù gestibili riducendo la dose o posticipandone la somministrazione. Con Iclusig esiste il rischio di problemi dovuti a coaguli di sangue o ostruzioni nelle arterie o nelle vene, compresi attacchi cardiaci e ictus. Questo rischio può essere ridotto individuando e trattando le affezioni che possono aggravarlo, sia prima sia durante il trattamento. Tra tali affezioni vi sono l'ipertensione e l'aumento del colesterolo.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Iclusig?

La ditta che commercializza Iclusig deve presentare i risultati definitivi dello studio su persone affette da LLA Ph+ di nuova diagnosi per confermarne la sicurezza e l'efficacia.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Iclusig sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Iclusig sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Iclusig sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Iclusig

Iclusig ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 1° luglio 2013.

Ulteriori informazioni su Iclusig, compresi il foglio illustrativo e le relazioni di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/iclusig.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 07-2026.