



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Romvimza

Parere positivo nel trattamento del tumore tenosinoviale a cellule giganti sintomatico

Autore: Nunzia Balzano

Revisore: Gloria Ravegnini

Settembre 2025

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) ha espresso parere positivo per l'autorizzazione all'immissione in commercio di Romvimza (vimseltinib), per il trattamento di pazienti adulti affetti da tumore tenosinoviale a cellule giganti sintomatico (TGCT), quando le opzioni chirurgiche sono state esaurite o potrebbero causare gravi disabilità funzionali o morbidità.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Romvimza è un medicinale antineoplastico, il cui principio attivo, vimseltinib, è un inibitore del recettore del fattore 1 stimolante le colonie (CSF1R), recettore tirosin-chinasico che svolge un ruolo cruciale nella differenziazione, proliferazione e sopravvivenza cellulare del TGCT. Vimseltinib inibisce selettivamente le cellule che esprimono CSF1R, bloccando le vie di segnalazione a valle che promuovono la proliferazione tumorale e l'attività dei macrofagi [1].

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

Il TGCT è una neoplasia rara che colpisce il rivestimento delle articolazioni (sinovia), le borse sierose e le guaine tendinee. Si tratta di una patologia localmente aggressiva ma non metastatica, la cui insorgenza è dovuta a una disfunzione del gene *CSF1*, che determina un'eccessiva produzione della proteina CSF1. Questa iperespressione stimola la crescita e l'espansione tumorale richiamando macrofagi infiammatori dipendenti dal CSF1R e promuovendone la proliferazione locale. Il TGCT può causare dolore, gonfiore, rigidità articolare e deterioramento funzionale, con un impatto significativo sulla qualità di vita. L'età media alla diagnosi è compresa tra i 35 e i 50 anni, e nei casi più gravi, possono verificarsi danni articolari irreversibili, fino anche all'amputazione dell'arto interessato. La chirurgia rappresenta il trattamento di prima scelta che, tuttavia, nelle forme diffuse, complesse o recidivanti può risultare non praticabile o associata a elevata morbidità. Le alternative terapeutiche sistemiche disponibili sono attualmente molto limitate. L'unico farmaco ad oggi disponibile è il pexidartinib, approvato negli Stati Uniti, Taiwan e Corea del Sud, ma negli Stati Uniti può essere prescritto solo nell'ambito di una strategia di mitigazione del rischio a causa della possibile comparsa di epatotopia colestatica, evento raro ma potenzialmente fatale. Pexidartinib non ha ricevuto l'approvazione in Europa proprio a causa dei rischi legati alla sicurezza del farmaco e per i dubbi sull'entità e la durata dell'effetto terapeutico [2].

Dati di efficacia e sicurezza nell'indicazione oggetto della nuova indicazione

La raccomandazione positiva di EMA si basa sui risultati dello studio clinico MOTION, un trial internazionale di fase III, multicentrico, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, condotto su 123 pazienti adulti affetti da TGCT sintomatico non operabile. I pazienti sono stati randomizzati 2:1 per ricevere 30 milligrammi di vimseltinib (n=83) o placebo (n=40) per via orale per 24 settimane. Dopo la settimana 25, ai pazienti che avevano ricevuto Romvimza è stato consentito di continuare il trattamento, mentre ai pazienti che avevano ricevuto placebo è stato consentito di ricevere il farmaco sperimentale. L'effetto del trattamento è stato valutato alla settimana 25 identificando il numero di pazienti il cui tumore si era ridotto o era aumentato.

In particolare, vimseltinib ha mostrato un tasso di risposta oggettiva, secondo i criteri RECIST, significativamente superiore rispetto al placebo (differenza assoluta del 40%; CI 95%, IC: 29–51; $p < 0,0001$). Tra i pazienti trattati con vimseltinib, il 5% ha ottenuto una risposta completa e il 35% una risposta parziale. Inoltre, il 95% dei pazienti trattati ha mostrato una riduzione delle dimensioni tumorali rispetto al basale, a conferma di un'attività antitumorale marcata e diffusa. L'efficacia è risultata consistente in quasi tutti i sottogruppi analizzati e, al momento della data di *cut-off* dei risultati, la durata mediana della risposta non era stata ancora raggiunta, suggerendo benefici sostenuti nel tempo. Per quanto riguarda la sicurezza, gli

eventi avversi più frequenti associati a vimseltinib comprendevano aumenti delle transaminasi epatiche (AST e ALT), edema periorbitale e periferico, ipercolesterolemia, rash cutaneo, aumento della creatinina, neutropenia, malessere e prurito. La maggior parte di questi eventi era di grado lieve o moderato e l'interruzione del trattamento a causa di tossicità è stata rara [3]. Complessivamente, il profilo di tollerabilità è stato considerato favorevole rispetto ai benefici clinici osservati, confermando vimseltinib come un'opzione terapeutica promettente per i pazienti con TGCT non operabile [4].

Bibliografia

1. [EMA – Romvimza \(vimseltinib\)](#).
2. [EMA. Turalio \(pexidartinib\)](#).
3. Gelderblom, H., Bhadri, V., Stacchiotti, S., Bauer, S., Wagner, A. J., van de Sande, M., Bernthal, N. M., López Pousa, A., Razak, A. A., Italiano, A., Ahmed, M., Le Cesne, A., Tinoco, G., Boye, K., Martín-Broto, J., Palmerini, E., Tafuto, S., Pratap, S., Powers, B. C., Reichardt, P., ... MOTION investigators (2024). Vimseltinib versus placebo for tenosynovial giant cell tumour (MOTION): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet (London, England)*, 403(10445), 2709–2719. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(24\)00885-7](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(24)00885-7)
4. [EMA – Summary of opinion \(initial authorisation\)](#).