



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Baqsimi

Estensione dell'indicazione terapeutica per il trattamento dell'ipoglicemia grave nei bambini a partire da 1 anno di età

Autore: Consiglia Riccardi

Revisore: Rossana Roncato

Settembre 2025

Il 24 luglio 2025, il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agencia Europea dei Medicinali (EMA) ha espresso parere favorevole alla modifica dei termini dell'autorizzazione all'immissione in commercio del medicinale Baqsimi (glucagone). L'estensione riguarda un'indicazione già approvata, ossia il trattamento dell'ipoglicemia grave nei pazienti adulti, adolescenti e pediatrici con diabete mellito, che viene ora ampliata per includere i bambini a partire da 1 anno di età.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Baqsimi rappresenta il primo trattamento per l'ipoglicemia grave che può essere somministrato senza ricorrere a iniezioni sottocutanee o intramuscolari. Il medicinale è disponibile sotto forma di polvere nasale in contenitore monodose, assorbita passivamente attraverso la mucosa. L'efficacia non dipende da una profonda inalazione, caratteristica che ne consente l'impiego anche in pazienti incoscienti [1-2]. Il principio attivo è una forma sintetica del glucagone, ormone che innalza la concentrazione plasmatica di glucosio mediante attivazione dei recettori epatici, stimolando la glicogenolisi e la successiva liberazione di glucosio dal fegato. L'effetto terapeutico richiede la presenza di adeguate riserve epatiche di glicogeno [3].

Il farmaco era già approvato a partire dai 4 anni di età.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

L'ipoglicemia grave rappresenta una delle complicanze acute più rilevanti del diabete mellito (DM). Si manifesta quando la terapia ipoglicemizante, in particolare a base di insulina o farmaci orali, determina una riduzione eccessiva della glicemia (valori inferiori a 54 mg/dL), con conseguente compromissione cognitiva tale da richiedere un trattamento immediato. In assenza di intervento, l'ipoglicemia grave può condurre a convulsioni, coma, eventi cardiovascolari e morte [2].

Dal punto di vista fisiopatologico, l'evento ipoglicemico è il risultato dell'interazione tra un eccesso relativo o assoluto di insulina e fattori concomitanti (digiuno, ridotto apporto esogeno di glucosio, attività fisica, aumentata sensibilità insulinica, sonno), in presenza di difese controregolatorie compromesse (mancata soppressione dell'insulina endogena, assenza della risposta glucagonica e attenuazione della risposta adrenergica). Queste alterazioni caratterizzano il DM di tipo 1 e le forme avanzate di DM di tipo 2 [4-6]. Di conseguenza, l'ipoglicemia iatrogena rappresenta un problema precoce nel DM di tipo 1 e più tardivo nel D di tipo 2 e richiede un'attenta gestione terapeutica e un approccio personalizzato. La prevenzione passa attraverso il riconoscimento dei fattori di rischio, l'educazione strutturata del paziente, obiettivi glicemici individualizzati, uso di insuline e farmaci a più basso rischio ipoglicemico e l'adozione di tecnologie avanzate per il monitoraggio glicemico [7]. La maggior parte degli episodi di ipoglicemia asintomatica o lieve-moderata vengono efficacemente autotrattati con l'assunzione orale di compresse di glucosio o carboidrati a rapido assorbimento. Nei casi più severi, con alterazione dello stato di coscienza, o se il paziente ipoglicemico non è in grado di assumere carboidrati per via orale, è necessaria una terapia parenterale: somministrazione endovenosa di glucosio ipertonico (soluzione glucosata al 30% o 50%) oppure uso di glucagone iniettabile come GlucaGen (glucagone umano ricombinante per iniezione sottocutanea o intramuscolare) [8]. Tuttavia, alcuni farmaci a base di glucagone non sono approvati nei bambini di 1 anno (Ogluo approvato in Europa a partire da 2 anni di età, Zegalogue a partire dai 6 anni di età).

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

L'efficacia di Baqsimi nella popolazione pediatrica è stata valutata in uno studio clinico randomizzato, controllato che ha coinvolto 48 bambini e adolescenti di età compresa tra 4 e 17 anni con DM di tipo 1, dimostrando una non-inferiorità rispetto al glucagone intramuscolare nel

raggiungimento di livelli glicemici adeguati entro 30 minuti [9]. Inoltre, uno studio di fase 1, in aperto, a braccio singolo, è stato condotto su 7 pazienti di età compresa tra 1 e 4 anni, per valutare nello specifico la sicurezza e la tollerabilità in questa popolazione [10].

Il profilo di sicurezza risulta sovrapponibile a quello del glucagone iniettabile, seppur la specifica via di somministrazione intranasale si associ a sintomi locali nasali e oculari. Gli eventi avversi più comuni, osservati in oltre un paziente su dieci, comprendono lacrimazione, irritazione nasale e faringea, nausea, cefalea e vomito [9].

Bibliografia

1. [EMA. Baqsimi – Summaries of positive opinion.](#)
2. [EMA. Baqsimi – Press release.](#)
3. [Baqsimi – Riassunto delle caratteristiche del prodotto \(RCP\).](#)
4. Cryer P. E. (2008). The barrier of hypoglycemia in diabetes. *Diabetes*, 57(12), 3169–3176. <https://doi.org/10.2337/db08-1084>
5. Dagogo-Jack, S. E., Craft, S., & Cryer, P. E. (1993). Hypoglycemia-associated autonomic failure in insulin-dependent diabetes mellitus. Recent antecedent hypoglycemia reduces autonomic responses to, symptoms of, and defense against subsequent hypoglycemia. *The Journal of clinical investigation*, 91(3), 819–828. <https://doi.org/10.1172/JCI116302>
6. Segel, S. A., Paramore, D. S., & Cryer, P. E. (2002). Hypoglycemia-associated autonomic failure in advanced type 2 diabetes. *Diabetes*, 51(3), 724–733. <https://doi.org/10.2337/diabetes.51.3.724>
7. Davis, H. A., Spanakis, E. K., Cryer, P. E., Siamashvili, M., & Davis, S. N. (2024). Hypoglycemia During Therapy of Diabetes. In K. R. Feingold (Eds.) et. al., *Endotext*. MDTtext.com, Inc.
8. Abraham MB, et al. ISPAD Clinical Practice Consensus Guidelines 2022: Assessment and management of hypoglycemia in children and adolescents with diabetes. *Pediatr Diabetes*. 2022 Dec;23(8):1322-1340. doi: 10.1111/pedi.13443
9. [EMA. Baqsimi – EPAR.](#)
10. [NCT04992312. A Study of Nasal Glucagon \(LY900018\) in Pediatric Participants With Type 1 Diabetes \(RescuiNGkids\).](#)