



SIF Pharma News

Veyvondi

Estensione dell'indicazione ai bambini con malattia di von Willebrand

Autore: Silvia Pelucchi

Revisore: Michela Campolo

Dicembre 2025

Il CHMP ha espresso parere positivo sull'estensione dell'autorizzazione di Veyondi, ampliando le raccomandazioni per trattare le emorragie in bambini e adolescenti (<18 anni) con malattia di von Willebrand quando la desmopressina (DDAVP) è inefficace o controindicata.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Veyondi (voncog alfa) è un fattore di von Willebrand ricombinante umano, indicato per la prevenzione e trattamento di emorragie o sanguinamenti chirurgici in adulti (≥ 18 anni) con malattia di von Willebrand (VWD) quando la desmopressina (DDAVP) è inefficace o controindicata. Il fattore di von Willebrand (VWF) svolge un ruolo essenziale nell'emostasi primaria, mediando l'adesione delle piastrine al collagene subendoteliale tramite l'interazione con il complesso recettoriale piastrinico GPIb-IX-V. Parallelamente, il VWF stabilizza il fattore VIII proteggendolo dalla degradazione e mantenendone l'emivita, così da garantirne la disponibilità per l'attivazione della via intrinseca della coagulazione.

Il meccanismo d'azione di Veyondi consiste nel sostituire il VWF mancante o difettoso nei pazienti con VWD, ripristinando entrambe le funzioni fisiologiche. Da un lato, Veyondi ripristina la capacità di mediare l'adesione e l'aggregazione piastrinica nei siti di lesione vascolare; dall'altro, svolge la funzione di stabilizzatore del fattore VIII, con aumento del suo contributo alla cascata coagulativa. Veyondi è disponibile come polvere liofilizzata per uso endovenoso, con dosi adattate al quadro clinico e ai parametri coagulativi del paziente.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

La VWD è il più comune disturbo emorragico ereditario ed è dovuta a un difetto quantitativo (Tipo 1 e 3) o qualitativo (Tipo 2) del VWF. Pur colpendo entrambi i sessi, l'impatto clinico è maggiore nelle persone di sesso femminile, a causa della frequente presenza di sanguinamenti mestruali e del post-partum. La gestione richiede un piano terapeutico personalizzato, mirato a ridurre il carico emorragico e a migliorare la qualità di vita. Le opzioni disponibili includono trattamenti che aumentano i livelli endogeni di VWF, come la desmopressina, un analogo sintetico della vasopressina che stimola il rilascio di VWF dai depositi endoteliali; è efficace soprattutto nel tipo 1 e in alcune forme del tipo 2, ma controindicata nel tipo 3 e in altre varianti del tipo 2. Quando la risposta a desmopressina è insufficiente o il farmaco è controindicato, si ricorre a una terapia sostitutiva con concentrati di fattore di von Willebrand, plasmaderivati o ricombinanti (es. Veyondi); a questi si associano spesso antifibrinolitici per il controllo dei sanguinamenti.

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

L'uso di Veyondi per il trattamento al bisogno degli episodi emorragici è stato valutato in uno studio multicentrico, di fase III, in aperto che ha arruolato 18 pazienti pediatrici con sanguinamenti non chirurgici da VWD grave (2 Tipo 1, 11%; 3 Tipo 2A, 17%; 2 Tipo 2B, 11%; 11 Tipo 3, 61%), di età media pari a 11 anni (*range* 1-17) e 4 con sanguinamenti chirurgici (*range* 6-12 anni; 1 VWD Tipo 1; 3 Tipo 3). L'*endpoint* primario era il numero di pazienti trattati con successo, valutato tramite una scala di 4 punti (eccellente, buono, moderato, assente). Il 99% dei sanguinamenti non chirurgici è stato controllato in modo eccellente; inoltre, in tutti gli eventi dei 4 pazienti sottoposti a chirurgia l'efficacia emostatica è risultata eccellente. Gli eventi avversi più comuni negli studi su adulti e bambini sono stati cefalea, nausea e vomito.

Bibliografia

1. Connell NT. Treatment of von Willebrand Disease. *Blood Adv.* Published online November 7, 2025. doi:10.1182/bloodadvances.2025016487
2. Revel-Vilk S, Schmugge M, Carcao MD, Blanchette P, Rand ML, Blanchette VS. Desmopressin (DDAVP) responsiveness in children with von Willebrand disease. *J Pediatr Hematol Oncol.* 2003;25(11):874-879. doi:10.1097/00043426-200311000-00010
3. Abe K, Dupervil B, O'Brien SH, Oakley M, Kulkarni R, Gill JC, Byams V, Soucie MJ; US Hemophilia Treatment Center Network. Higher rates of bleeding and use of treatment products among young boys compared to girls with von Willebrand disease. *Am J Hematol.* 2020 Jan;95(1):10-17. doi: 10.1002/ajh.25656.
4. [NCT02932618. A Study of Recombinant Von Willebrand Factor \(rVWF\) With or Without ADVATE in Children With Severe Von Willebrand Disease \(VWD\)](#)
5. [FDA. Vonvendi. Highlights of prescribing information. 2025](#)
6. [EMA. Veyvondi vonicog alfa](#)
7. [EMA. Veyvondi - opinion on variation to marketing authorization](#)