



SIF Pharma News

# Simponi

Estensione dell'indicazione nella colite ulcerosa pediatrica  
moderata-severa

Autore: Chiara Pavanello

Revisore: Ambra Grolla

Gennaio 2026

L'11 dicembre 2025, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha espresso parere positivo per l'estensione dell'indicazione terapeutica di Simponi (golimumab), autorizzandone l'uso nei bambini di età ≥ 2 anni e peso corporeo ≥ 15 kg affetti da colite ulcerosa di grado moderato-severo, con risposta inadeguata, intolleranza o controindicazioni alla terapia convenzionale.

### Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Simponi (golimumab) è un anticorpo monoclonale completamente umano diretto contro il fattore di necrosi tumorale-alfa (TNF- $\alpha$ ), una citochina chiave nella risposta infiammatoria. Golimumab lega con alta affinità sia la forma solubile sia quella transmembrana del TNF- $\alpha$ , impedendone l'interazione con i recettori cellulari e bloccando a valle l'attivazione della cascata infiammatoria. Ne consegue una riduzione dell'infiltrazione leucocitaria, dell'espressione di molecole di adesione e della produzione di mediatori pro-infiammatori, con un effetto di modulazione dell'azione immunitaria. Il farmaco è indicato per il trattamento di alcune patologie infiammatorie croniche a base immunomediata, in particolare per gli adulti con artrite reumatoide, artrite psoriasica, spondilite anchilosante, spondiloartrite assiale o colite ulcerosa, oltre che per i bambini a partire dai 2 anni di età con artrite idiopatica giovanile.

Simponi è disponibile per somministrazione sottocutanea in penne preriempite da 50 mg/0,5 mL e 100 mg/1 mL. Lo schema posologico è basato sul peso corporeo e prevede una fase di induzione con due somministrazioni alle settimane 0 e 2, seguita da una fase di mantenimento con somministrazioni ogni 4 settimane a partire dalla settimana 6.

### Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

La colite ulcerosa è una malattia infiammatoria cronica intestinale a decorso recidivante, caratterizzata da un'infiammazione continua della mucosa del colon, che esordisce tipicamente a livello del retto e può estendersi in modo variabile ai segmenti prossimali. Rientra nel gruppo delle malattie infiammatorie croniche intestinali (MICI), circa il 20–25% delle quali esordisce in età pediatrica o adolescenziale. A livello globale, l'incidenza della colite ulcerosa pediatrica è stimata fino a 10–15 nuovi casi per 100.000 bambini/anno nelle aree a più alta prevalenza, con un trend in progressivo aumento anche nei Paesi europei, inclusa l'Italia. In età pediatrica, la colite ulcerosa tende a presentare un decorso più aggressivo rispetto alla popolazione adulta, con maggiore estensione di malattia, attività infiammatoria più elevata e un impatto clinicamente rilevante sulla crescita, sullo sviluppo puberale e sulla qualità di vita.

La gestione terapeutica della colite ulcerosa pediatrica si basa su un approccio *step-up*, modulato in funzione della gravità della malattia e della risposta al trattamento. Nelle forme lievi-moderate, le opzioni di prima linea includono i derivati dell'acido 5-aminosalicilico (mesalazina), mentre nelle forme moderate-severe o in caso di riacutizzazioni vengono comunemente impiegati i corticosteroidi sistemicci. Tuttavia, l'uso prolungato di corticosteroidi è limitato da un profilo di tollerabilità sfavorevole e da effetti negativi sulla crescita, rendendo necessaria l'introduzione di terapie di mantenimento a risparmio steroideo.

Nei pazienti con risposta inadeguata, intolleranza o controindicazioni alle terapie convenzionali, sono disponibili farmaci immunomodulanti (quali azatioprina e 6-mercaptopurina) e terapie biologiche, in particolare anticorpi monoclonali diretti contro TNF- $\alpha$ . Tra questi ultimi, solo infliximab e adalimumab sono attualmente approvati per l'uso in età pediatrica, ma a partire dai 6 anni. Nonostante l'efficacia dimostrata di questi trattamenti, una quota rilevante di pazienti non raggiunge un controllo soddisfacente o presenta limitazioni legate alla sicurezza, alla tollerabilità o alla sostenibilità del trattamento nel lungo periodo.

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

L'efficacia e la sicurezza di golimumab nella colite ulcerosa pediatrica sono state valutate nello studio multicentrico, *open-label*, di fase III PURSUIT 2, che ha arruolato 69 pazienti di età  $\geq 2$  anni con diagnosi di colite ulcerosa attiva di grado moderato-severo e risposta inadeguata alla terapia convenzionale.

L'*endpoint primario* dello studio era la remissione clinica alla settimana 6, definita mediante punteggio Mayo, indice di attività di malattia. Tale *endpoint* è stato raggiunto dal 31,9% dei pazienti trattati. Tra gli *endpoint secondari*, la risposta clinica alla settimana 6, intesa come miglioramento dei sintomi rispetto al basale, è stata osservata in circa il 56% dei pazienti, mentre il miglioramento endoscopico è stato documentato nel 40,6%. Tra i pazienti in remissione alla settimana 6, oltre la metà ha mantenuto il controllo della malattia fino alla settimana 54 durante la fase di mantenimento.

I dati farmacocinetici, derivati dallo studio PURSUIT Pediatric PK, hanno mostrato che le concentrazioni sieriche di golimumab alla settimana 6 erano comparabili a quelle osservate nella popolazione adulta, supportando l'adeguatezza dello schema posologico pediatrico basato sul peso corporeo.

Il profilo di sicurezza è risultato coerente con quello osservato nella popolazione adulta e già noto per i farmaci anti-TNF- $\alpha$ . Gli eventi avversi più frequentemente riportati includevano infezioni, prevalentemente delle vie respiratorie superiori, reazioni nel sito di iniezione, cefalea e affaticamento. Le infezioni gravi sono state riportate nel 14,5% dei pazienti, mentre non sono emersi nuovi segnali di sicurezza specifici per la popolazione pediatrica.

### Bibliografia

1. [EMA. Simponi – Summary of positive opinion](#)
2. Wine E, et al. A. Management of paediatric ulcerative colitis, part 1: Ambulatory care-An updated evidence-based consensus guideline from the European Society of Paediatric Gastroenterology, Hepatology and Nutrition and the European Crohn's and Colitis Organisation. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2025 Sep;81(3):765-815
3. Sýkora J, et al. Current global trends in the incidence of pediatric-onset inflammatory bowel disease. World J Gastroenterol. 2018 Jul 7;24(25):2741-2763
4. Turner D, et al. Efficacy, Safety, and Pharmacokinetics of Golimumab in Children with Moderately-To-Severely Active Ulcerative Colitis: Results from the PURSUIT 2 Study, Inflammatory Bowel Diseases, 2026