



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Efmody

Estensione dell'indicazione terapeutica nell'insufficienza surrenalica

Autore: Chiara Pavanello
Revisore: Jacopo Angelini

Febbraio 2026

Il 26 gennaio 2026, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha espresso parere positivo per l'estensione dell'indicazione terapeutica di Efmody (idrocortisone), autorizzandone l'uso nel trattamento dell'insufficienza surrenalica.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Efmody è un farmaco a base di idrocortisone a rilascio modificato, progettato per mimare il profilo circadiano della secrezione endogena di cortisolo. L'idrocortisone è un glucocorticoide che corrisponde chimicamente al cortisolo naturale prodotto dalla corteccia surrenalica ed esercita effetti pleiotropici sul metabolismo, sulla risposta immunitaria e sull'omeostasi cardiovascolare.

A livello molecolare, agisce legandosi ai recettori glucocorticoidi intracellulari (GR), con successiva traslocazione del complesso recettore-ligando nel nucleo e regolazione della trascrizione genica. Il rilascio modificato consente una somministrazione serale e mattutina che determina un incremento dei livelli plasmatici di cortisolo nelle prime ore del mattino, riproducendo più fedelmente il picco fisiologico rispetto alle formulazioni a rilascio immediato, con migliore controllo dei sintomi e riduzione delle fluttuazioni ormonali tipiche della terapia sostitutiva convenzionale.

Efmody è disponibile in capsule rigide a rilascio modificato da 5 mg e 10 mg ed era già approvato per l'iperplasia surrenalica congenita (*congenital adrenal hyperplasia*, CAH) a partire dai 12 anni di età.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

L'insufficienza surrenalica (*adrenal insufficiency*, AI) è una patologia endocrina cronica caratterizzata da una produzione inadeguata di glucocorticoidi e, talvolta, di mineralcorticoidi da parte della corteccia surrenalica. Può essere distinta in una forma primaria (malattia di Addison), dovuta a un danno diretto della ghiandola surrenalica, spesso di origine autoimmune, e in una forma secondaria o terziaria, conseguente a un'alterazione dell'asse ipotalamo-ipofisi-surrene, frequentemente associata all'uso prolungato di glucocorticoidi esogeni. Nel complesso, la forma secondaria risulta più frequente nella popolazione generale con una prevalenza stimata fino a 280 casi per milione.

Dal punto di vista clinico, la patologia si manifesta con sintomi spesso aspecifici, tra cui affaticamento, ipotensione e ridotta tolleranza allo stress, ma può evolvere in crisi surrenalica, un'emergenza endocrina potenzialmente fatale precipitata da eventi stressanti come infezioni o interventi chirurgici.

Il trattamento si basa sulla terapia sostitutiva con glucocorticoidi, tradizionalmente mediante idrocortisone a rilascio immediato somministrato in più dosi giornaliere, associato a mineralcorticoidi nei pazienti con insufficienza surrenalica primaria. È, inoltre, disponibile una formulazione a rilascio modificato (Plenadren), somministrata una volta al giorno al mattino.

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

L'estensione dell'indicazione si basa su un insieme di evidenze farmacocinetiche, farmacodinamiche e cliniche, derivate principalmente da studi condotti nella CAH e integrate da dati specifici in pazienti con AI primaria.

Il farmaco ha dimostrato, negli studi DIUR-005 e DIUR-006 condotti in pazienti con CAH, la capacità di fornire un profilo di esposizione al cortisolo più fisiologico rispetto alla terapia corticosteroidea standard.

Evidenze cliniche specifiche nell'AI primaria derivano dallo studio CHAMPAIN, uno studio di fase II, randomizzato, in doppio cieco, *double-dummy*, *cross-over*, che ha confrontato Efmody (15 mg la sera e 10 al mattino) con idrocortisone a rilascio modificato standard (Plenadren, 25 mg al mattino) in 58 pazienti adulti con AI primaria. Lo studio ha dimostrato che Efmody è in grado di ripristinare il

fisiologico incremento mattutino del cortisolo, raggiungendo concentrazioni plasmatiche comparabili a quelle osservate nella popolazione sana, con benefici significativi sulla *fatigue* mattutina, sulla qualità di vita e sul profilo immunologico rispetto al controllo. CHAMPAIN fornisce una dimostrazione clinica diretta del valore funzionale del ripristino del ritmo circadiano del cortisolo nei pazienti con AI.

Bibliografia

1. [EMA. Efmody – Summary of positive opinion](#)
2. [Efmody. Hydrocortisone](#)
3. Lewis A, et al. Diagnosis and management of adrenal insufficiency. Clin Med (Lond). 2023 Mar;23(2):115-118. doi: 10.7861/clinmed.2023-0067. PMID: 36958832; PMCID: PMC11046533.
4. Prete A, et al. Effects of modified release hydrocortisone on restoration of early morning cortisol, quality of life, and fatigue in adrenal insufficiency (The CHAMPAIN study): a randomised, double-blind, double-dummy, cross-over study comparing Chronocort and Plenadren. EClinicalMedicine. 2026 Jan 2;91:103714. doi: 10.1016/j.eclinm.2025.103714