



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Dupixent

Estensione dell'indicazione per il trattamento dell'orticaria
cronica spontanea nei bambini a partire dai 2 anni di età

Autore: Maria Antonietta Riemma

Revisore: Elisabetta Caiazzo

Marzo 2026

Il 26 febbraio 2026, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere positivo raccomandando l'estensione dell'indicazione di Dupixent (dupilumab) per il trattamento dell'orticaria cronica spontanea nei bambini ≥ 2 anni con risposta inadeguata agli antistaminici H1 e che non hanno mai ricevuto terapia anti-IgE.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Il principio attivo di Dupixent è il dupilumab (codice ATC: D11AH05), un anticorpo monoclonale umano diretto contro la subunità α del recettore dell'interleuchina-4 (IL-4R α). Attraverso il legame con questo recettore, dupilumab inibisce la trasduzione del segnale mediata sia da IL-4 sia da IL-13, due citochine chiave coinvolte nella risposta infiammatoria di tipo 2 (Th2). Il blocco di queste vie di segnalazione determina una riduzione dell'attivazione e del reclutamento di cellule immunitarie implicate nei processi infiammatori allergici e nell'infiammazione cronica.

Il farmaco è già approvato per pazienti con dermatite atopica da moderata a severa, asma severo con infiammazione di tipo 2, rinosinusite cronica con poliposi nasale (CRSwNP) severa, prurigo nodulare (PN) da moderata a severa, esofagite eosinofila e broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata.

Inoltre, Dupixent è indicato per il trattamento dell'orticaria cronica spontanea da moderata a severa in pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

L'orticaria cronica spontanea (*chronic spontaneous urticaria*, CSU) è una patologia infiammatoria cutanea caratterizzata dalla comparsa ricorrente di pomfi pruriginosi, angioedema o entrambe le manifestazioni, che persistono per oltre sei settimane in assenza di un fattore scatenante identificabile. La malattia presenta spesso un decorso cronico e fluttuante con forte impatto sulla qualità di vita dei pazienti, principalmente a causa dell'intenso prurito, dei disturbi del sonno e delle limitazioni nelle attività quotidiane. Dal punto di vista patogenetico, la CSU è determinata dall'attivazione di mastociti e basofili, con conseguente rilascio di istamina e di altri mediatori pro-infiammatori, responsabili delle manifestazioni cutanee tipiche della malattia.

Le linee guida europee raccomandano come trattamento di prima linea gli antistaminici H1 di seconda generazione. Nei casi refrattari agli antistaminici, tra le opzioni terapeutiche approvate dall'EMA è disponibile omalizumab, un anticorpo monoclonale anti-IgE indicato come terapia aggiuntiva negli adulti e negli adolescenti a partire dai 12 anni. Inoltre, le linee guida raccomandano l'uso di ciclosporina nei pazienti non responsivi ad omalizumab.

Nella stessa riunione del 26 febbraio 2026, è stato approvato Rhapsodo (remibrutinib), un inibitore selettivo dell'enzima tirosin chinasi di Bruton (BTK) per il trattamento degli adulti con CSU non adeguatamente controllata. Nonostante queste strategie terapeutiche, una quota significativa di pazienti continua a presentare sintomi persistenti e un impatto significativo sulla qualità di vita. L'introduzione di nuove opzioni terapeutiche mirate rappresenta un'importante opportunità per migliorare il controllo della malattia.

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

L'efficacia e la sicurezza di dupilumab nel trattamento della CSU pediatrica sono state valutate nel programma clinico LIBERTY-CUPID, in particolare negli studi di fase III CUPID-A e CUPID-C, che hanno incluso pazienti di età compresa tra 6 e 11 anni e CUPIDKids che ha arruolato bambini tra 2 e 11 anni. L'efficacia è stata valutata alla settimana 24 in termini di variazione del prurito rispetto al basale mediante l'*Itch Severity Score* (ISS7) e di variazione nell'attività di malattia tramite l'*Urticaria Activity Score* su 7 giorni (UAS7).

Nello Studio A, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, condotto in 138 pazienti di almeno 6 anni di età non precedentemente trattati con omalizumab, dupilumab utilizzato in aggiunta alla terapia con antistaminici ha determinato un miglioramento significativo dell'attività di malattia rispetto al placebo, con riduzioni di prurito e pomfi e una percentuale più elevata di pazienti con buon controllo della malattia o completa risoluzione dei sintomi. Successivamente, lo studio CUPID-C, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, condotto su 151 pazienti di almeno 6 anni di età sintomatici nonostante la terapia con antistaminici e non precedentemente trattati con omalizumab, ha valutato l'efficacia e la sicurezza di dupilumab come terapia aggiuntiva alla terapia standard. Lo studio ha confermato i risultati del CUPID-A, dimostrando una riduzione significativa del prurito e dell'attività di malattia con dupilumab rispetto al placebo.

Infine, lo studio di fase III, a braccio singolo CUPIDKids ha valutato la farmacocinetica e la sicurezza di dupilumab in bambini di almeno 2 anni con CSU sintomatica nonostante il trattamento con antistaminici.

Per quanto riguarda la sicurezza, l'analisi combinata dei due studi ha evidenziato un profilo di tollerabilità del farmaco sovrapponibile al placebo. L'incidenza complessiva di eventi avversi è risultata simile nei due gruppi, e gli eventi più frequentemente osservati includevano nasofaringite, riacutizzazione dell'orticaria e reazioni nel sito di iniezione (edema, dolore, prurito). Gli eventi avversi gravi sono stati poco frequenti e il profilo di sicurezza complessivo è risultato coerente con quello già noto per dupilumab nelle altre indicazioni approvate.

Bibliografia

- [Dupixent - dupilumab opinion on variation to marketing authorization](#)
- Maurer M, Casale TB, Saini SS, Ben-Shoshan M, Giménez-Arnau AM, Bernstein JA, Yagami A, Stjepanovic A, Radin A, Staudinger HW, Patel N, Amin N, Akinlade B, Fan C, Bauer D, Yancopoulos GD, Patel K, Mannent LP, Laws E. Dupilumab in patients with chronic spontaneous urticaria (LIBERTY-CSU CUPID): Two randomized, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trials. J Allergy Clin Immunol. 2024 Jul;154(1):184-194. doi: 10.1016/j.jaci.2024.01.028. Epub 2024 Feb 29. PMID: 38431226.
- Casale TB, Saini SS, Ben-Shoshan M, Giménez-Arnau AM, Bernstein JA, Hayama K, Amin N, Robinson LB, Bauer D, Dakin P, Laws E, Radin A, Makhija M. Dupilumab in Patients With Chronic Spontaneous Urticaria: Phase 3 LIBERTY-CSU CUPID Randomized Clinical Trials. JAMA Dermatol. 2026 Feb 18:e256023. doi: 10.1001/jamadermatol.2025.6023. Epub ahead of print. PMID: 41706458; PMCID: PMC12917742.
- [NCT05526521 A Study to Investigate the Pharmacokinetics and Safety of Dupilumab in Participants ≥2 Years to <12 Years of Age With Uncontrolled Chronic Spontaneous Urticaria \(CSU\) \(LIBERTY-CSU CUPIDKids\)](#)