



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Jorveza

Estensione dell'indicazione nel trattamento dell'esofagite eosinofila in pazienti pediatrici dai 2 ai 17 anni di età

Autore: Flavia Valeria Esposito

Revisore: Gloria Ravegnini

Marzo 2026

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) ha adottato un parere positivo, raccomandando una modifica dei termini dell'autorizzazione all'immissione in commercio del medicinale Jorveza (budesonide), con l'approvazione di una nuova formulazione per il trattamento dell'esofagite eosinofila (*eosinophilic esophagitis*, EoE) in pazienti pediatrici dai 2 ai 17 anni di età.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Jorveza, il cui principio attivo è budesonide, è un glucocorticoide che lega il recettore dei glucocorticoidi ed agisce localmente riducendo l'infiammazione nell'esofago. Nel trattamento dell'esofagite eosinofila (EoE), budesonide inibisce la secrezione stimolata dall'antigene di molte molecole pro-infiammatorie, come la linfopoietina timica stromale, l'interleuchina 13 e l'eotassina 3 nell'epitelio esofageo, determinando una riduzione significativa dell'infiltrato infiammatorio eosinofilo nell'esofago [1]. Il farmaco è già approvato, sotto forma di compresse orodispersibili, per il trattamento dell'esofagite eosinofila negli adulti [1].

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

L'EoE è una malattia cronica, progressiva e immunomediata dell'esofago, caratterizzata da un'infiammazione a predominanza eosinofila e da sintomi di disfunzione esofagea. Negli ultimi anni la sua incidenza è aumentata significativamente, in particolare nella popolazione pediatrica (con un'incidenza annuale di circa 5 casi ogni 100.000 bambini). La malattia può manifestarsi con diversi sintomi, tra cui difficoltà nella deglutizione, vomito, rigurgito, dolore addominale e arresto della crescita; nei casi più gravi possono, inoltre, verificarsi episodi di ostruzione da bolo alimentare [2,3]. Dal punto di vista patogenetico, l'EoE è principalmente guidata da meccanismi infiammatori di tipo 2, spesso innescati da antigeni alimentari. Questi stimoli inducono l'epitelio esofageo a rilasciare molecole di allarme (alarmine), tra cui IL-33 e TSLP (*Thymic Stromal Lymphopoietin*). Tali mediatori attivano le cellule T helper 2 (Th2), che a loro volta producono citochine come IL-4, IL-5 e IL-13 e promuovono il rilascio di mediatori chemiotattici, tra cui eotassina-3. L'azione combinata di queste citochine determina alterazioni strutturali dell'epitelio, reclutamento di granulociti e attivazione dei fibroblasti, con conseguente deposizione di collagene e progressivo aumento della rigidità del tessuto esofageo [4].

Il trattamento dell'EoE pediatrica, sebbene ancora limitato, è di tipo multimodale e ha come obiettivi il controllo dei sintomi, la riduzione dell'infiammazione eosinofila e la prevenzione della progressione verso fibrosi e stenosi esofagea. Per molti anni il trattamento si è basato principalmente su strategie dietetiche di eliminazione, sull'impiego di inibitori di pompa protonica e sull'utilizzo di corticosteroidi topici, come fluticasone propionato nebulizzato o budesonide sospensione orale, comunemente impiegati *off-label* nei bambini. L'anticorpo monoclonale dupilumab rappresenta attualmente l'unica terapia biologica mirata con autorizzazione regolatoria per l'EoE nella popolazione pediatrica [2].

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

Il parere positivo per l'estensione di indicazione si basa sui risultati dello studio di fase II/III PEDEOS-1, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo che ha valutato l'efficacia e la sicurezza della sospensione orale di budesonide in bambini e adolescenti con EoE. Lo studio ha incluso 76 pazienti tra i 2 ed i 17 anni di età con EoE, randomizzati 1:1:1 per ricevere budesonide sospensione orale ad alto dosaggio (0,5 mg/1 mg BID), a basso dosaggio (0,5 mg/1 mg OD) o placebo, con stratificazione per fascia di età (2-11 e 12-17 anni), per una durata di 12 settimane. L'*endpoint* primario era la **percentuale di pazienti che raggiungevano simultaneamente una remissione**

istologica (<16 eosinofili/mm² per campo ad alto ingrandimento) **associata a risposta clinica (riduzione ≥30% del punteggio totale *Pediatric Eosinophilic Esophagitis Symptom Score*, PEES v2.0 rispetto al basale) alla settimana 12 (analisi *last observation carried forward*, LOCF)** [5]. I risultati hanno evidenziato che il farmaco è significativamente superiore al placebo nel raggiungere l'*endpoint* primario di remissione combinata (istologica e clinica), con percentuali di successo del 69% per il dosaggio alto e del 46% per quello basso, a fronte dello 0% registrato nel gruppo placebo. In particolare, la remissione istologica è stata raggiunta dalla grande maggioranza dei pazienti trattati, nell'88% e 62% rispettivamente nel gruppo ad alto e basso dosaggio [5]. Dal punto di vista della sicurezza, il trattamento è risultato ben tollerato e la maggior parte degli eventi avversi è stata di entità lieve o moderata, con una distribuzione simile tra i gruppi trattati e quello placebo. Le reazioni più comuni hanno riguardato infezioni delle vie respiratorie e disturbi gastrointestinali, senza che venissero rilevati decessi o criticità gravi legate alla terapia [5]. Alla luce di tali evidenze, l'EMA ha concluso che il rapporto beneficio-rischio di budesonide risulta favorevole, raccomandando pertanto l'estensione dell'indicazione per il trattamento dell'esofagite eosinofila in pazienti pediatrici dai 2 ai 17 anni di età [6].

Bibliografia

1. [JORVEZA – Riassunto delle caratteristiche del prodotto](#)
2. Oliva S, et al.; Italian Society of Pediatric Gastroenterology Hepatology and Nutrition (SIGENP), The Italian Association of Hospital Gastroenterologists and Endoscopists (AIGO), The Italian Society of Gastroenterology (SIGE), and The Italian Society of Digestive Endoscopy (SIED). Eosinophilic esophagitis in children and adolescents: a clinical practice guideline. *Ital J Pediatr*. 2025 Jul 23;51(1):242. doi: 10.1186/s13052-025-02056-x
3. Kumar, S., Choi, S.S. & Gupta, S.K. Eosinophilic esophagitis: current status and future directions. *Pediatr Res* 88, 345–347 (2020). <https://doi.org/10.1038/s41390-020-0770-4>
4. Kennedy KV, Muir AB, Ruffner MA. Pathophysiology of Eosinophilic Esophagitis. *Immunol Allergy Clin North Am*. 2024 May;44(2):119-128. doi: 10.1016/j.iac.2023.12.001. Epub 2024 Jan 9.
5. [EU Clinical Trials Register. Double-blind, randomized, placebo-controlled, Phase II/III trial on the efficacy and tolerability of treatment with budesonide oral suspension vs. placebo in children and adolescents with eosinophilic esophagitis \(EudraCT No. 2017-003737-29\)](#). Risultati pubblicati il 05 Apr 2025.
6. [EMA – Summary of opinion \(post authorisation\)](#)