



SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

SIF Pharma News

Jivi

Estensione dell'indicazione per pazienti con emofilia A non trattati in precedenza

Autore: Irma Convertino

Revisore: Elisabetta Caiazzo

Agosto 2026

Il 23 Luglio 2026, il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere positivo raccomandando una modifica dell'indicazione terapeutica di Jivi (damoctocog alfa pegol) per il trattamento e la profilassi degli episodi emorragici nei pazienti di età pari o superiore a 7 anni affetti da emofilia A (deficit congenito del fattore VIII), estendendo l'uso limitazione per i pazienti non trattati in precedenza.

Descrizione del farmaco e meccanismo d'azione

Il principio attivo di Jivi è damoctocog alfa pegol, una forma PEGilata del fattore VIII ricombinante (rFVIII). Dopo somministrazione endovenosa, il fattore VIII si lega al fattore di von Willebrand e ripristina temporaneamente l'attività coagulativa, consentendo una corretta generazione di trombina e formazione del coagulo. La pegilazione contribuisce a mantenere più a lungo il farmaco in circolo, con potenziale beneficio in termini di praticità e aderenza alla profilassi rispetto ai concentrati standard di fattore VIII.

Il farmaco era già approvato per il trattamento e la profilassi degli episodi emorragici nei pazienti di età pari o superiore a 7 anni affetti da emofilia A precedentemente trattati.

Descrizione della patologia e delle alternative disponibili

L'emofilia A è una coagulopatia ereditaria legata al sesso e causata da livelli ridotti o assenti di fattore VIII, con conseguenti emorragie nelle articolazioni, nei muscoli o negli organi interni, siano esse spontanee o il risultato di un trauma accidentale o chirurgico. Lo scopo della terapia sostitutiva è aumentare i livelli plasmatici di fattore VIII, permettendo quindi una correzione temporanea della carenza del fattore stesso e della tendenza al sanguinamento. La scelta del trattamento dipende da molteplici fattori, tra cui età, storia emorragica, presenza di inibitori, caratteristiche farmacocinetiche del medicinale e preferenze del paziente e del caregiver. Nei pazienti pediatrici, la profilassi precoce è fondamentale per ridurre il carico emorragico e prevenire le complicanze muscolo-scheletriche a lungo termine. Le opzioni terapeutiche disponibili per i pazienti pediatrici con emofilia A comprendono concentrati di fattore VIII derivati dal plasma o ricombinanti a emivita standard, nonché diversi prodotti ricombinanti a emivita prolungata, tra cui Elocta (efmoroctocog alfa), Adynovi (rurioctocog alfa pegol), Esperoct (turoctocog alfa pegol) e Altuviiio (efanesoctocog alfa). Inoltre, sono disponibili anche anticorpi monoclonali (emicizumab, concizumab e marstacimab) per la profilassi routinaria nei pazienti con emofilia A.

Dati di efficacia e sicurezza a supporto della nuova indicazione

La modifica dell'indicazione di Jivi, con la rimozione della limitazione d'uso per i pazienti *naïve*, è stata autorizzata da EMA applicando quanto previsto dalle linee guida specifiche per lo studio dei prodotti ematologici. In particolare, data la disponibilità di numerosi trattamenti e la conseguente difficoltà di arruolare negli studi clinici pazienti non precedentemente trattati (*previously untreated patient*, PUP), EMA non richiede l'esecuzione di studi specifici in questa popolazione, ma uno stretto monitoraggio dell'efficacia del trattamento e dello sviluppo di inibitori attraverso registri di patologia.

Pertanto, l'autorizzazione non si basa su nuovi dati ma su quanto già dimostrato negli studi registrativi condotti sui pazienti con emofilia A grave precedentemente trattati, in particolare negli studi di fase III Alfa-PROTECT e PROTECT Kids, che hanno valutato la sicurezza, l'efficacia e il profilo farmacocinetico di damoctocog alfa pegol in pazienti pediatrici di età compresa tra 7 e < 12 anni e nello studio di fase II/III PROTECT VIII che ha valutato l'uso del farmaco in pazienti di almeno 12 anni. L'EMA ha chiesto l'aggiornamento del Piano di Gestione del Rischio (RMP - *Risk Management Plan*) che stabilisce la modalità di monitoraggio e minimizzazione dei rischi relativi all'uso del farmaco.

Bibliografia

- [European Medicines Agency \(EMA\)](#). (last accessed July 29th, 2026)
- Reding MT, Lalezari S, Kenet G, Di Minno G, Ducore J, Solms A, Shah A, Holme PA, Poulsen LH, Meijer K, Simpson M, Mancuso ME. Damoctocog Alfa Pegol, a PEGylated B-domain Deleted Recombinant Extended Half-life Factor VIII for the Treatment of Hemophilia A: A Product Review. *Drugs R D*. 2024 Sep;24(3):359-381. doi: 10.1007/s40268-024-00481-7. Epub 2024 Aug 20. Erratum in: *Drugs R D*. 2025 Mar;25(1):89-98. doi: 10.1007/s40268-024-00494-2.
- Reding, M.T., Pabinger, I., Holme, P.A., Poulsen, L., Negrier, C., Chalasani, P., Maas Enriquez, M., Wang, M., Meijer, K., Mancuso, M.E. and Lalezari, S. (2021), Confirmed long-term safety and efficacy of prophylactic treatment with BAY 94–9027 in severe haemophilia A: final results of the PROTECT VIII extension study. *Haemophilia*, 27: e347-e356. <https://doi.org/10.1111/hae.14297>
- Reding MT, Simpson M, Ducore J, Holme PA, Maas Enriquez M, Mancuso ME. Long-Term Efficacy and Safety of Damoctocog Alfa Pegol Prophylaxis in Patients with Haemophilia A Aged 12-<18 Years at Enrolment into PROTECT VIII. *Acta Haematol*. 2025;148(1):58-67. doi: 10.1159/000538702.
- Ozelo MC, Luciani M, Glosli H, Kavakli K, Samji N, Makris GC, Tueckmantel C, Maas Enriquez M, Oliveira LC, Gupta S, Arbesú MG, Davoli M, Chan AKC, Mancuso ME. Safety and Efficacy of Damoctocog Alfa Pegol in Previously Treated Children Aged 7 to <12 Years With Severe Haemophilia A in the Phase 3, Open-Label Alfa-PROTECT Main Study. *European Journal of Haematology*. 2026;116(4):435-442. DOI: 10.1111/ejh.70059
- European Medicines Agency (EMA). EMA/CHMP/BPWP/144533/2009 rev. 2. Guideline on the clinical investigation of recombinant and human plasma-derived factor VIII products. 26 July 2018