

Nou tratament oral cu doză unică pentru tripanosomiaza africană umană (boala somnului)

27 februarie 2026

Acoziborole Winthrop simplifică tratamentul bolii în stadiul I și II cauzate de *T. brucei* gambiense

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-single-dose-oral-treatment-human-african-trypanosomiasis-sleeping-sickness>

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al EMA a adoptat un aviz științific pozitiv pentru Acoziborole Winthrop pentru tratamentul tripanosomiazăi africane umane (TAU; boala somnului) cauzată de *Trypanosoma brucei* gambiense (g-TAU).

Acoziborole Winthrop este destinat utilizării în afara Uniunii Europene (UE) și a fost evaluat în cadrul programului EU-M4all. EU-M4all își propune să faciliteze accesul pacienților din țările cu venituri mici și medii la medicamente esențiale destinate prevenirii sau tratării bolilor de interes major pentru sănătatea publică.

g-TAU apare în unele părți ale Africii și este clasificată drept boală tropicală neglijată de către Organizația Mondială a Sănătății (OMS). În urma eforturilor concertate de control al g-TAU, transmiterea a fost eliminată în multe țări. Mai puțin de 1.000 de cazuri sunt raportate anual pe continentul african. Cu toate acestea, boala este de obicei fatală fără tratament, iar terapiile actuale sunt complexe.

g-TAU se răspândește prin mușcătura musculițelor țete infectate cu parazitul *Trypanosoma brucei* gambiense. În primele zile după infecție, pacienții pot avea simptome precum febră, dureri de cap și erupții cutanate (prima etapă). Ulterior, pot prezenta o formă mai severă a bolii, care afectează sistemul nervos, provocând simptome precum tulburări de somn și modificări de comportament (a doua etapă).

Acoziborole Winthrop este indicat pentru utilizare la adulți și adolescenți de la 12 ani cu o greutate de cel puțin 40 kg pentru tratamentul g-TAU în stadiul I și al II-lea (inclusiv stadiul II sever).

Modul exact în care acționează Acoziborole Winthrop nu este pe deplin înțeles. Cu toate acestea, datele sugerează că substanța sa activă, acoziborolul, se leagă de enzima de care parazitul are nevoie pentru a produce proteine esențiale și îi blochează activitatea, provocând moartea parazitului.

Terapiile actuale pentru g-TAU implică doze multiple, perfuzii intravenoase sau injecții intramusculare, precum și spitalizare. Acestea sunt selectate în funcție de stadiul bolii, care este determinat printr-o puncție lombară (puncție spinală). Acoziborole Winthrop se administrează ca doză orală unică și este eficient în toate stadiile g-TAU, eliminând necesitatea puncției lombare și a spitalizării. Acest lucru simplifică tratamentul pentru pacienți, facilitând respectarea tratamentului și accesibilitatea.

Siguranța și eficacitatea Acoziborole Winthrop se bazează pe rezultatele unui studiu clinic de fază II/III, cu un singur braț, deschis, efectuat în Republica Democrată Congo și Guineea.

Studiul a implicat 208 adulți și adolescenți cu vârsta de peste 15 ani cu g-TAU care au primit o singură doză de medicament.

Rezultatele au arătat că, după 18 luni, tratamentul a avut succes la aproximativ 95% (159 din 167) dintre persoanele cu boală în stadiul doi și la 100% (41 din 41) dintre persoanele cu g-TAU în stadiul întâi și intermediar. Succesul tratamentului s-a bazat pe absența semnelor clinice de g-TAU, lipsa paraziților detectabili și un număr de leucocite sub o anumită limită stabilită. Datele suplimentare au arătat, de asemenea, că la adolescenții cu vârsta cuprinsă între 12 și 17 ani și cu o greutate de cel puțin 40 kg, se așteaptă ca medicamentul să se comporte în același mod ca la adulți.

Cele mai frecvente reacții adverse raportate în cazul utilizării Acoziborole Winthrop au fost durerile de cap, febra, slăbiciunea, scăderea poftei de mâncare și tremorul. Medicamentul nu este destinat utilizării la persoanele cu probleme de ritm cardiac preexistente și nici nu trebuie administrat împreună cu anumite medicamente utilizate pentru tratarea HIV și a altor infecții. Pacienții vor primi un card pentru a explica aceste riscuri. De asemenea, compania va efectua un studiu post-autorizare pentru a colecta informații privind siguranța medicamentului în viața reală în cele 3 luni de la tratament.

Avizul științific pozitiv al EMA va simplifica precalificarea OMS și va facilita înregistrarea națională a Acoziborole Winthrop pentru utilizare în programele de sănătate publică din țările în care boala este endemică. Cererea de aviz științific a fost evaluată conform unui calendar accelerat pentru a permite un acces mai rapid al pacienților la acest medicament.

Medicamentele pentru care se depun cereri în cadrul programului EU-M4all sunt evaluate de CHMP în colaborare cu OMS și țările vizate, combinând capacitățile de evaluare științifică ale EMA cu expertiza în epidemiologie și boli locale a OMS și a experților și autorităților naționale de reglementare din țările vizate.

Note:

- CHMP a adoptat un aviz științific pozitiv pentru Acoziborole Winthrop în conformitate cu articolul 58 din Regulamentul (CE) nr. 726/2004.
- Acoziborole Winthrop este destinat exclusiv piețelor din afara Uniunii Europene.
- Solicitantul pentru Acoziborole Winthrop este Sanofi Winthrop Industrie.
- Numărul de cazuri raportate anual este disponibil de la OMS: Organizația Mondială a Sănătății. Raportul celei de-a cincea reuniuni a părților interesate ale OMS privind eliminarea tripanosomiazelor africane umane gambiense și rhodesiense. Geneva, Elveția, 7-9 iunie 2023. (<https://www.who.int/publications/i/item/9789240091238>). Site-ul web al Organizației Mondiale a Sănătății. 3 mai 2024. Accesat la 23 februarie 2026.