	<b>DIPARTIMENTO CLINICA E RICERCA          DERMATOLOGICA          MODULO INFORMATIVO ALLA          PRESTAZIONE SANITARIA PER          TERAPIA MEDICA          GIVLAARI          (GIVOSIRAN 189 mg/MI)          Soluzione Iniettabile</b>	UOC DM – UOSD PORFIRIE E MALATTIE RARE MOD 04-2022 Rev. 00 07.03.2022 PAG 1 DI 2
---	--	---

Gentile Signora,  
 Egregio Signore,

**La informiamo** che, in base alla Sua patologia:

Lei dovrà essere sottoposto a un **trattamento sanitario** definito:

**TERAPIA MEDICA  
 con GIVLAARI (GIVOSIRAN 189 mg/MI)  
 Soluzione Iniettabile**

**Indicazione:**

**Givlaari** è indicato per il trattamento della porfiria epatica acuta (Acute hepatic porphyria, AHP) in adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni.

Allo stato attuale Givlaari è l'unico farmaco con indicazione al trattamento della sua patologia.

Il trattamento con GIVLAARI (Givosiran) riduce gli attacchi di porfiria in pazienti con AHP e pertanto si riduce l'uso profilattico di emina (NORMOSANG).

In caso di attacco acuto di porfiria sarà comunque preso in considerazione l'utilizzo di emina (NORMOSANG) con le modalità di somministrazione finora utilizzate.



**Meccanismo d'azione:**

**Givosiran** è un acido ribonucleico interferente breve a doppio filamento (siRNA) che provoca la degradazione dell'acido ribonucleico messaggero (mRNA) dell'acido aminolevulinico sintasi 1 (ALAS1) negli epatociti mediante interferenza con l'RNA, causando una riduzione dell'mRNA di ALAS1 epatico indotto verso livelli normali. Ciò porta a livelli più bassi dei prodotti intermedi neurotossici circolanti [acido aminolevulinico (ALA) e porfobilinogeno (PBG)], che rappresentano le principali cause di attacchi e altre manifestazioni dell'AHP.

**La dose raccomandata** di Givlaari è di 2,5 mg/kg una volta al mese, somministrata per iniezione sottocutanea.

**Controindicazioni:**

- ipersensibilità grave (anafilassi) al principio attivo o ad uno qualsiasi degli eccipienti;

 	<b>DIPARTIMENTO CLINICA E RICERCA      DERMATOLOGICA      MODULO INFORMATIVO ALLA      PRESTAZIONE SANITARIA PER      TERAPIA MEDICA      GIVLAARI      (GIVOSIRAN 189 mg/MI)      Soluzione Iniettabile</b>	<b>UOC DM – UOSD PORFIRIE E      MALATTIE RARE      MOD 04-2022      Rev. 00      07.03.2022      PAG 2 DI 2</b>
---	--	--

- pazienti con sottotipi di AHP diversi da porfiria acuta intermittente (AIP).

**Effetti indesiderati:**

- nausea;
- eruzione cutanea;
- reazione nella sede di iniezione;
- affaticamento;
- aumento delle transaminasi;
- effetti sulla funzionalità renale (aumento dei livelli sierici di creatinina e riduzione di eGFR);
- ipersensibilità;
- reazione anafilattica.

**La informiamo** che gli studenti in Medicina o delle Professioni Sanitarie e/o tirocinanti possono partecipare al percorso di cura in maniera proporzionale alle competenze acquisite ed essere coinvolti anche nel processo di acquisizione del Consenso Informato.

Roma li \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_