



Epn, a l'Obiettivo 12 esperti a confronto su impatto e trattamenti

Descrizione

(Adnkronos) In occasione della Giornata mondiale della consapevolezza sull'emoglobinuria parossistica notturna (Epn), istituita dalla Pnh Global Alliance (Alleanza Globale per l'Epn) il 12 ottobre, Novartis presenta l'Obiettivo 12 nell'emoglobinuria parossistica notturna: quando l'energia ritorna, la vita si riaccende: un momento di confronto e sensibilizzazione sull'impatto della malattia e per discutere i progressi scientifici che stanno ridefinendo il trattamento. L'Epn è una malattia rara, cronica e debilitante che colpisce spesso persone giovani, tra i 30 e i 40 anni spiega Camilla Frieri, Uoc Ematologia e terapie cellulari avanzate, Aorn San Giuseppe Moscati, Avellino. È causata da una mutazione nelle cellule staminali ematopoietiche, che rende i globuli rossi vulnerabili alla distruzione da parte del sistema del complemento. In Italia si stimano circa mille persone con diagnosi di Epn e circa un terzo necessita di una terapia anti-complemento. Il valore di 12 g/dL rappresenta la soglia minima di emoglobina considerata sana, chiarisce Frieri: un traguardo clinico fondamentale per i pazienti con Epn. Molti pazienti continuano tuttavia, nonostante le terapie standard come gli inibitori del C5 (C5i), a presentare anemia. (INFOGRAFICA)

Gli inibitori terminali del complemento hanno portato al controllo dell'emolisi intravascolare (Ivh), ridotto il rischio tromboembolico e migliorato la sopravvivenza a lungo termine, evidenzia Eros Di Bona, direttore Uoc Oncoematologia, ospedale San Bassiano, Bassano del Grappa, Vicenza. Aulss 7 Pedemontana. Oggi per circa il 50% dei pazienti in terapia con gli inibitori del C5 (C5i) presenta ancora anemia persistente; il 30% circa è dipendente da trasfusioni e oltre l'80% dei pazienti continua a manifestare una fatigue (affaticamento) costante. Questo avviene principalmente a causa dell'attivazione della via alternativa del complemento, che comporta la distruzione dei globuli rossi a livello extravascolare.

La risoluzione dell'emolisi, sia intravascolare che extravascolare e il conseguente miglioramento dei livelli di emoglobina (Hb) informa la farmaceutica in una nota: rappresentano obiettivi terapeutici fondamentali per garantire un controllo completo della patologia e promuovere il benessere clinico e funzionale del paziente. I bisogni clinici insoddisfatti nell'Epn sottolinea Bruno Fattizzo, Fondazione Irccs Ca' Granda ospedale Maggiore Policlinico, Milano: hanno portato allo sviluppo degli inibitori prossimali del complemento che agiscono precocemente nella cascata, controllando sia l'emolisi intravascolare che quella extravascolare. Con la disponibilità di

queste nuove opzioni terapeutiche, che potrebbero normalizzare l'ematoglobina e risolvere sintomi debilitanti come la fatigue, diventa essenziale promuovere un approccio terapeutico personalizzato.

In questo contesto, la voce del paziente è essenziale per comprendere l'impatto reale dell'Epn.afferma Sergio Ferini Strambi, presidente di Aiepn, Associazione italiana Epn. Oggi, grazie ai progressi della ricerca, abbiamo terapie innovative che permettono di controllare l'emolisi e risolvere la fatigue, restituendo energia, autonomia e normalità. Vent'anni fa, tutto questo era impensabile. Le nuove modalità di somministrazione contribuiscono ulteriormente a migliorare la qualità di vita. In questo scenario, il ruolo del paziente consapevole, aderente alla terapia e proattivo nel dialogo con il clinico diventa sempre più centrale per ottimizzare il percorso di cura. L'associazione Aiepn Onlus, costituita nel 2010, ha contribuito in questi anni a informare i pazienti e i familiari sulla malattia, offrendo loro supporto e promuovendo consapevolezza.

Si tratta di un impegno condiviso anche da Novartis, rimarca Paola Coco, Chief Scientific Officer & Medical Affairs Head. In un'area come l'ematologia, in cui siamo impegnati da oltre vent'anni, dichiara il nostro obiettivo è creare un futuro in cui le persone con le malattie del sangue non debbano più accettare compromessi nella cura e nella qualità di vita. Siamo lieti di aver reso disponibili in Italia nuove opzioni terapeutiche che, anche in patologie complesse come l'Epn, possono offrire una prospettiva di vita più lunga, libera dai sintomi e dal peso della gestione complessa del percorso di cura. Il nostro impegno va oltre il trattamento farmacologico: lavoriamo insieme ai diversi attori del sistema sanitario per migliorare ogni fase del percorso, dalla diagnosi precoce al monitoraggio, dall'aderenza ai programmi di supporto, promuovendo consapevolezza e fiducia nel dialogo tra paziente e clinico.

Per favorire una maggiore consapevolezza e offrire supporto concreto conclude la nota. È stato attivato il canale online Cosa sapere sull'Epn? Informati per un migliore controllo, realizzato da MypersonalTrainer con il supporto della farmaceutica. Pensato per pazienti e caregiver, il progetto mette a disposizione contenuti specialistici per comprendere meglio la malattia e affrontarne l'impatto nella vita quotidiana, favorendo un percorso di cura più partecipato.

??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 6, 2025

Autore

redazione