



Rimborso exa-cel, Locatelli: "Passo davvero improntato per cura emoglobinopatie"

Descrizione

(Adnkronos) "È un passo davvero importante per poter rendere fruibile ai pazienti italiani con emoglobinopatie, quindi con talassemia e con anemia falciforme, un trattamento che ha numerosi vantaggi". Così Franco Locatelli, professore di Pediatria presso l'Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma e direttore del Dipartimento di Ematologia e oncologia pediatrica dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù¹, commenta la notizia della pubblicazione in Gazzetta ufficiale, da parte dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), della rimborsabilità di exagamglogene autotemcel (exa-cel), la prima e unica terapia di editing genetico approvata in Europa per il trattamento di pazienti con beta-talassemia trasfusione-dipendente (Tdt) e anemia falciforme severa (Scd).

Il primo vantaggio, illustra Locatelli, sperimentatore principale degli studi Climb-111 e Climb-121 che hanno portato al via libera da parte delle Agenzie regolatorie del trattamento, riguarda proprio la possibilità di essere fruibile da tutti coloro che rispondono ai criteri di rimborsabilità da parte dell'Aifa, cosa molto diversa rispetto al trapianto di midollo osseo dove vi è la necessità di identificare un donatore compatibile. Il secondo aspetto rilevante continua l'esperto "che il profilo di sicurezza di una terapia fondata sulle cellule editate per riattivare la sintesi dell'emoglobina fetale è decisamente superiore rispetto a quello di un trapianto allogenico, e quindi può essere considerato anche per quei pazienti adolescenti, giovani adulti per i quali un trapianto di cellule staminali allogeniche è troppo rischioso".

Un ulteriore punto di forza riguarda l'efficacia. I dati derivanti dalle sperimentazioni cliniche sono particolarmente incoraggianti ed entusiasmanti sottolinea Basti pensare che, nello studio per l'impiego nella talassemia, che ho coordinato a livello internazionale, tutti i pazienti che hanno ricevuto l'infusione delle cellule editate, all'ultima analisi effettuata, hanno raggiunto l'indipendenza trasfusionale. Tre hanno necessitato di più tempo rispetto ai rimanenti 53, ma in totale 56 su 56 hanno smesso di ricevere trasfusioni, con livelli di emoglobina medi attorno ai 12 grammi per decilitro. Certo osserva i livelli non sono solo tali da renderli indipendenti dalle trasfusioni, ma anche così buoni da garantire un'ottima qualità di vita.

A tale proposito, sono appena stati pubblicati 2 studi sulla rivista Blood Advances che chiarisce Locatelli che documentano un netto beneficio sia per la popolazione dei talassemici che dei falcemici, negli adolescenti e negli adulti. Nel dettaglio, per i falcemici si riduce il rischio di ospedalizzazione per crisi vaso-occlusive dolorose importanti; per i talassemici aumenta la frequenza scolastica negli adolescenti, migliora la performance fisica e lavorativa e si riduce la fatica, o fatigue, un senso di profonda stanchezza molto debilitante e tipico della patologia. Si tratta di un risultato straordinario.

Attualmente il trattamento è indicato e rimborsato per pazienti dai 12 al 35 anni. Sono limiti derivanti dall'evidenza delle sperimentazioni cliniche, cioè dai criteri sviluppati nel corso dei trial, precisa l'esperto. E per in corso lo studio per ampliarne l'impiego a livello pediatrico. Anche qui, il Bambino Gesù l'unica istituzione italiana che vi partecipa aggiunge. I dati verranno presentati al prossimo congresso della Società Americana di Ematologia nei primi giorni di dicembre e, senza voler anticipare nulla per rispetto dell'embargo, posso dire che sono dati molto confortanti. Del resto, riflette il filone dell'editing del genoma è importante e certamente porterà ne sono certo alla cura di altre malattie ereditarie. Ma l'editing del genoma afferma Locatelli potrebbe svolgere un ruolo rilevante anche negli approcci di terapie antitumorali, con l'editing delle cellule Cart-T per renderle più efficienti e più durature nel tempo. È una svolta epocale -rimarca davvero una rivoluzione che va incontro a quelli che sono i bisogni dei pazienti.

??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 9, 2025

Autore

redazione