



Terapia genica per emoglobinopatie, Orlandi (United): "Regioni trovino i centri"

## Descrizione

(Adnkronos) "I pazienti aspettavano da tanto tempo questo trattamento che permette di poter guarire". Il lavoro "adesso nelle mani delle regioni" perché dovranno individuare i centri deputati a poter eseguire la terapia. Ne abbiamo 4-5 in tutta Italia autorizzati e capaci di farlo. In particolare, sarebbe importante che la Sardegna e la Sicilia le regioni dove le emoglobinopatie sono endemiche, con circa 2.600-2.700 pazienti indicassero un loro centro: eviterebbero dei viaggi complicati. Così Valentino Orlandi, presidente della United, la Federazione nazionale delle associazioni di pazienti con talassemia o anemia falciforme, commenta la pubblicazione in Gazzetta ufficiale da parte dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) per la rimborsabilità di exagamglogene autotemcel (exa-cel), prima e unica terapia di editing genetico approvata per il trattamento di pazienti con beta-talassemia trasfusione-dipendente (Tdt) e anemia falciforme severa (Scd).

Il nuovo trattamento con tecnologia Crispr-Cas9 (le "forbici molecolari" dell'editing genetico) "è indicato per pazienti che hanno caratteristiche specifiche e definiti limiti di età". Questa "una sorta di discriminazione" osserva Orlandi "Il mio lavoro sarà continuo e costante" per garantire l'accesso tempestivo ai pazienti eleggibili. "Nei nostri congressi abbiamo ascoltato le testimonianze dei pazienti che nei trial clinici, quindi 2-3 anni fa, hanno eseguito questa terapia: hanno sviluppato un'emoglobina fetale di valori importanti, con una energia e una forza che prima non riscontravano. Quindi rimarca non sarà per tutti i pazienti, non sarà domani, ma questi pazienti per cui c'è la terapia, svolteranno la vita".

"

salute

[webinfo@adnkronos.com](mailto:webinfo@adnkronos.com) (Web Info)

## Categoria

### 1. Comunicati

---

**Tag**

1. Ultimora

**Data di creazione**

Ottobre 9, 2025

**Autore**

redazione

*default watermark*