



Terapia genica per emoglobinopatie, Orlandi (United): â??Regioni trovino i centriâ?•

Descrizione

(Adnkronos) â?? I pazientiâ?• aspettavano â??da tanto tempoâ?• questo trattamento che permette di â??poter guarireâ?•. Il lavoro Ã“ adesso nelle mani delle regioni â??perchÃ© dovranno individuare i centri deputati a poter eseguire la terapia. Ne abbiamo 4-5 in tutta Italia autorizzati e capaci di farloâ?•. In particolare, sarebbe importante che â??la Sardegna e la Sicilia â?? le regioniâ?• dove le emoglobinopatie sono â??endemiche, con circa 2.600-2.700 pazienti â?? indicassero un loro centro: eviterebbero dei viaggiâ?• complicati. CosÃ¬ 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 dellâ??Agenzia italiana del farmaco (Aifa) per la rimborsabilitÃ 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 â?? forbici molecolariâ?? dellâ??editing genetico) Ã“ indicato per pazienti che hanno caratteristiche specifiche e definiti limiti di etÃ . â?? Questa Ã“ una sorta di discriminazione â?? osserva Orlandi â?? Il mio lavoro sarÃ continua e costanteâ?• per garantire lâ??accesso tempestivo ai pazienti eleggibili. â?? Nei nostri congressi abbiamo ascoltatoâ?• le testimonianze â??dei pazienti che nei trial clinici, quindi 2-3 anni fa, hanno eseguito questa terapia: hanno sviluppato unâ??emoglobina fetale di valori importanti, con una energia e una forza che prima non riscontravano. Quindi â?? rimarca â?? non sarÃ per tutti i pazienti, non sarÃ domani, ma questi pazientiâ?• per cui cÃ?Â la terapia, â?? svolteranno la vitaâ?•.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 9, 2025

Autore

redazione

default watermark