



Colestasi intraepatica familiare, ok di Aifa a rimborsabilità maralixibat

Descrizione

(Adnkronos) ?? Mirum Pharmaceuticals, Inc. ha annunciato che Livmarli* (maralixibat) soluzione orale ?? stato inserito tra i farmaci rimborsati dall'??Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ed ?? ora disponibile in Italia per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (Pfic) nei pazienti di et? pari o superiore ai 3 mesi. La decisione dell'??Aifa conferma il precedente parere positivo del Committee for medicinal products for human use (Chmp), il quale ha stabilito che Livmarli* ?? associato a un significativo beneficio clinico nella Pfic, malattia epatica genetica rara di tipo colestatico che si manifesta tipicamente in et? pediatrica.

??Siamo molto lieti che l'??Aifa abbia riconosciuto il valore aggiunto di Livmarli* per i pazienti affetti da Pfic e ne abbia approvato la rimborsabilit? anche per i neonati a partire dai 3 mesi di et? che convivono con questa rara e grave malattia epatica ?? dichiara Roberto Florenzano, Vice President & General Manager, Italy & South Europe di Mirum Pharmaceuticals -. Siamo fiduciosi che gli effetti che Livmarli* ha dimostrato sui principali parametri di funzionalit? epatica contribuiranno a migliorare la qualit? di vita dei pazienti affetti da Pfic con potenziali effetti a lungo termine?•.

??La Pfic ?? una grave malattia genetica potenzialmente letale, caratterizzata da prurito incessante e una progressiva compromissione della funzionalit? epatica ?? ha commentato Angelo Di Giorgio, professore Associato di Pediatria presso l'??Università di Udine -. I dati clinici su maralixibat, raccolti in pazienti con un ampio spettro di mutazioni genetiche, mostrano miglioramenti significativi del prurito colestatico e dei marcatori prognostici chiave della salute del fegato, inclusa, per la prima volta, la bilirubina. La disponibilit? della soluzione orale Livmarli* in Italia rappresenta un importante passo avanti per i bambini e le famiglie colpite da questa patologia devastante, inclusi i neonati a partire dai 3 mesi di et? ??•. La Pfic ?? causata da una compromissione nella formazione della bile, con conseguente accumulo di acidi biliari tossici nel fegato, danno epatico progressivo e prurito severo. L'??incidenza della Pfic ?? stimata in circa 1 caso ogni 50.000??100.000 nascite. Molti pazienti evolvono verso insufficienza epatica terminale e pu? rendersi necessario il trapianto di fegato in et? pediatrica o adolescenziale

??E' una malattia complessa che impatta profondamente sia i pazienti, sia le loro famiglie ?? ha dichiarato Francesca Lombardozzi, presidente del Pfic Italia Network -. Questi pazienti convivono con

un prurito così intenso da compromettere gravemente la loro qualità di vita, tanto che in passato molti hanno dovuto ricorrere al trapianto di fegato per trovare sollievo. Soffrono inoltre di grave affaticamento, crescita rallentata e difficoltà nello sviluppo. Auspiciamo che Livmarli* possa avere un impatto concreto per i pazienti, offrendo un possibile sollievo dalle notti insonni e dai disagi quotidiani causati dal prurito colestatico•.

I pazienti ai quali verrà prescritto Livmarli* in Italia, potranno accedere al programma de-LIV-er@home, un servizio gratuito di consegna a domicilio pensato per supportare le famiglie con difficoltà logistiche nella??ottenere il farmaco presso le farmacie di dispensazione. In Italia Mirum Pharmaceuticals ?? riporta una nota ?? ha attivato il programma de-LIV-er@home, un servizio gratuito di consegna a domicilio pensato per supportare le famiglie con difficoltà logistiche nella??accesso a maralixibat. Su richiesta del medico specialista e per i pazienti eleggibili, il farmaco può essere recapitato direttamente a casa tramite un corriere dedicato, riducendo tempi e costi di spostamento. Il programma ?? interamente finanziato da Mirum ed ?? gestito in collaborazione con Phs Lifescience Srl; esso riflette l??impegno continuo di Mirum nel migliorare l??accesso alle terapie e nel supportare la vita quotidiana delle famiglie interessate da Algs e Pfic.

??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 15, 2025

Autore

redazione