



Colestasi intraepatica familiare, ok di Aifa a rimborsabilit  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'   Universit  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 cos  intenso da compromettere gravemente la loro qualit  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 difficolt  nello sviluppo. Auspichiamo 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 verr  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 difficolt  logistiche nell  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 difficolt  logistiche nell  accesso a maralixibat. Su richiesta del medico specialista e per i pazienti eleggibili, il farmaco pu  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