



Amiloidosi, esperta: «Rimborsabilità eplontersen attesa nei primi mesi 2026»•

Descrizione

(Adnkronos) • Nel trattamento dell'amiloidosi ereditaria da transtiretina con polineuropatia (Attrv-Pn), si affaccia all'orizzonte eplontersen, una molecola innovativa per cui ci aspettiamo il via libera alla rimborsabilità entro i primi 6 mesi del 2026. Del farmaco è stato valutato il beneficio in termini di costo-efficacia e di impatto sociale, oltre che tanti altri aspetti, rispetto ai bisogni insoddisfatti della patologia. Lo ha detto Laura Obici, ricercatrice del Centro per lo studio e la cura delle amiloidosi della Fondazione Ircss Policlinico San Matteo di Pavia, intervenendo a Genova al 46° Congresso nazionale Sifo • Società italiana di farmacia ospedaliera e dei servizi farmaceutici delle aziende sanitarie.

Come ha evidenziato l'analisi Hta (Health Technology Assessment) • processo multidisciplinare finalizzato a valutare l'impatto di una tecnologia sanitaria dal punto di vista economico, clinico, etico e sociale al fine di guidare le scelte di politica sanitaria • il farmaco ha alcune caratteristiche importanti, illustra Obici: • Innanzitutto l'autosomministrazione e la possibilità di somministrarlo con una frequenza minore rispetto a quella dell'antisenso precedente. Si somministra infatti una volta ogni 4 settimane, non richiede premedicazione e ha un ottimo profilo di sicurezza e tollerabilità •.

L'amiloidosi ereditaria da transtiretina è una malattia genetica rara a trasmissione autosomica dominante • spiega l'esperta • causata dall'accumulo nei tessuti di un materiale insolubile proteico, formato appunto dalla proteina plasmatica chiamata transtiretina. Si tratta di una proteina di trasporto che ha come funzioni biologiche principali quella di trasportare la tiroxina e la vitamina A attraverso la retinol binding protein (Rbp). In presenza di mutazioni, la proteina diventa più instabile, perde la sua struttura nativa e si accumula in forma di fibrille di amiloide all'interno di diversi organi e tessuti, soprattutto a livello dei nervi periferici e del cuore. Le manifestazioni cliniche sono in realtà molto eterogenee, perché i tessuti colpiti sono pressoché tutti. La polineuropatia sensitivo-motoria e autonomica, perciò, domina il quadro clinico di questi pazienti ed è il motivo per cui abbiamo necessità di trattamenti che abbiano questa indicazione. •

Sulla patologia, l'epidemiologia è in continua evoluzione • riferisce Obici • È una malattia rara, quindi non è semplice comprenderne la prevalenza e l'incidenza. Diversi studi recenti

mostrano che la prevalenza sta aumentando grazie a una maggiore consapevolezza di questa patologia, sia tra gli specialisti neurologi che cardiologi. Solo fino a qualche anno fa il registro Telethon dava una prevalenza italiana di 4 casi per milione di abitanti, mentre 2 studi recenti l'hanno portata prima a 6 casi e poi a 7,5 casi per milione di abitanti. Stimiamo dunque circa 500 pazienti viventi in Italia, calcolando che gli studi vedono l'esperienza dei centri più dedicati alla malattia.

I pazienti con Attrv-Pn hanno molti bisogni ancora insoddisfatti sottolinea la specialista. In primo luogo, è necessaria maggiore precocità nella diagnosi: ci sono ancora molti pazienti che hanno un danno permanente legato ad un riconoscimento tardivo della malattia. È poi necessario intervenire più precocemente con farmaci in grado anche di restituire, almeno parzialmente, una capacità funzionale ai pazienti. Disponiamo infatti di terapie efficaci nel rallentare la progressione della malattia. Infine, ci sono aspetti legati alla gestione multi sistemica della patologia: essendo così tanti gli organi e i tessuti interessati, molti specialisti sono coinvolti nella presa in carico e nella cura di questi pazienti. Purtroppo conclude Obici ancora non tutti i centri hanno queste competenze multidisciplinari e ci sono aspetti, anche di carico psicologico per il paziente e per i familiari, che necessiterebbero di una gestione più accurata.

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Novembre 10, 2025

Autore

redazione