



## Emoglobinuria parossistica notturna, rimborsabile in Italia danicopan

### Descrizione

(Adnkronos) L'Agenzia italiana del farmaco Aifa ha approvato la rimborsabilità di danicopan come terapia aggiuntiva alla terapia standard con ravulizumab o eculizumab per il trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (Epn) con anemia emolitica residua. Lo comunica in una nota Alexion, AstraZeneca Rare Disease, spiegando che danicopan è un inibitore orale del fattore D, primo nella sua classe, sviluppato per rispondere alle esigenze del sottogruppo di pazienti che manifestano anemia emolitica residua durante il trattamento con un inibitore del C5. La decisione dell'Aifa di autorizzare la rimborsabilità di danicopan si legge fa seguito all'approvazione da parte della Commissione europea nel 2024, e si basa sui risultati dello studio pivotale di fase III Alpha, pubblicati su The Lancet Haematology. Danicopan aveva già ottenuto la designazione di terapia innovativa dalla Food and Drug administration Usa e lo status Prime (Priority Medicines) dall'Agenzia europea del farmaco Ema, ricorda l'azienda. Ha inoltre ottenuto la designazione di medicinale orfano negli Stati Uniti, in Ue e in Giappone per il trattamento dell'Epn.

L'Epn è una malattia rara, cronica, progressiva e potenzialmente pericolosa per la vita, ricorda AstraZeneca. È caratterizzata dalla distruzione dei globuli rossi all'interno dei vasi sanguigni (emolisi intravascolare) e dall'attivazione dei globuli bianchi e delle piastrine, che può causare trombosi, provocare danni agli organi e, potenzialmente, morte prematura. L'inibizione immediata, completa e duratura del complemento terminale tramite il blocco della proteina C5 aiuta a ridurre i sintomi e le complicanze, migliorando così la sopravvivenza dei pazienti con Epn. Circa il 10-20% delle persone affette da Epn trattate con un inibitore di C5 sperimenta un'emolisi extravascolare (Evh) clinicamente significativa, che può comportare sintomi persistenti di anemia e la necessità di trasfusioni di sangue. La prevalenza diagnosticata dell'Epn in Europa è di circa 6mila persone adulte.

Danicopan ha dimostrato un'efficacia clinicamente rilevante nel trattamento dell'emolisi extravascolare in pazienti affetti da Epn che presentano sintomi persistenti di anemia nonostante la terapia con inibitori del complemento C5 afferma Simona Sica, associato di Ematologia al Policlinico Gemelli università Cattolica di Roma. L'aggiunta di questo trattamento prende di mira la via alternativa del complemento; consente di intervenire contribuendo a migliorare il controllo dell'anemia e a ridurre la necessità di trasfusioni, senza compromettere l'efficacia della terapia.

standard con ravulizumab o eculizumab nel controllo dell'emolisi intravascolare. L'approvazione della rimborsabilità da parte di Aifa rappresenta un progresso significativo per questa popolazione di pazienti, offrendo un'opzione terapeutica mirata che consente di ottimizzare la gestione clinica dell'Epn e migliorare la qualità di vita dei pazienti. Commenta Sergio Ferini Strambi, presidente dell'Associazione italiana emoglobinuria parossistica notturna (Aiepn): «La ricerca in circa 20 anni ha cambiato in maniera positiva i destini e la qualità di vita dei pazienti affetti da Epn, una rara, anzi rarissima patologia del sangue. Oggi, grazie agli inibitori del complemento disponibili, c'è la possibilità di personalizzare la terapia, in maniera ottimale per ogni paziente. Come associazione non possiamo che ritenerci soddisfatti per i risultati raggiunti dalla ricerca».

«La rimborsabilità di danicopan come trattamento aggiuntivo a ravulizumab o eculizumab rappresenta un traguardo significativo per i pazienti affetti da Epn che manifestano sintomi di anemia dovuti all'emolisi extravascolare, offrendo un'opzione terapeutica in grado di ridurre l'anemia e la necessità di trasfusioni, e contribuendo così a migliorare gli outcome clinici e la gestione personalizzata della patologia», dichiara Federica Sottana, Senior Country Medical Director di Alexion, AstraZeneca Rare Disease. «Non si tratta di un punto di arrivo, ma di un'ulteriore dimostrazione del nostro continuo impegno per supportare la comunità dei pazienti con Epn, con l'obiettivo di migliorare concretamente la loro qualità di vita e quella delle loro famiglie».

Lo studio Alpha riporta la nota ha valutato l'efficacia e la sicurezza di danicopan come terapia aggiuntiva a ravulizumab o eculizumab in pazienti affetti da Epn che hanno manifestato Evh clinicamente significativa. I risultati hanno dimostrato che danicopan ha raggiunto l'endpoint primario, ovvero la variazione dell'emoglobina dal basale alla settimana 12, e tutti gli endpoint secondari chiave, tra cui l'assenza di trasfusioni e la variazione del punteggio del Functional Assessment of Chronic Illness Therapy - Fatigue (Facit-Fatigue). I risultati hanno mostrato che danicopan è stato generalmente ben tollerato e non sono emerse nuove problematiche di sicurezza. Nello studio gli eventi avversi più comuni emersi durante il trattamento sono stati mal di testa, nausea, dolori articolari e diarrea.

»

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Ottobre 29, 2025

## Autore

redazione