



## Farmaci, Aifa estende rimborso luspatercept in anemia da sindromi mielodisplastiche

### Descrizione

(Adnkronos) - L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato l'estensione della rimborsabilità di luspatercept nei pazienti adulti con anemia dipendente da trasfusioni di sangue dovuta a sindromi mielodisplastiche a rischio molto basso, basso e intermedio. L'anemia grave costringe i pazienti da un lato a recarsi frequentemente in ospedale per sottoporsi a trasfusioni di sangue, dall'altro ad assumere ogni giorno una terapia ferrochelante, per evitare che il ferro in eccesso danneggi organi vitali come cuore, fegato e pancreas. Luspatercept, terapia che agisce sulla eritropoiesi inefficace del midollo, cioè la mancata o insufficiente produzione di globuli rossi, informa una nota - ha dimostrato di ridurre il numero di trasfusioni, con un impatto significativo sulla sopravvivenza a lungo termine e sulla qualità di vita. Il 60% dei pazienti ha addirittura raggiunto l'indipendenza dalle trasfusioni.

Aifa a dicembre 2021 aveva già approvato la rimborsabilità di luspatercept nei pazienti adulti con anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindromi mielodisplastiche a rischio molto basso, basso e intermedio, che presentano sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente o non idonei a terapia basata su eritropoietina. Con l'estensione della rimborsabilità da parte di Aifa, luspatercept cambia la pratica clinica diventando la nuova terapia di prima linea. I progressi nella cura di questa neoplasia ematologica sono stati approfonditi oggi a Roma nel corso di un incontro con la stampa promosso da Bristol Myers Squibb.

Le sindromi mielodisplastiche sono un gruppo eterogeneo di tumori del sangue in cui le cellule del midollo osseo non riescono a maturare in maniera corretta - spiega Valeria Santini, professore di Ematologia all'università di Firenze, responsabile Mds Unit dell'azienda ospedaliero universitaria Careggi di Firenze e presidente del Comitato scientifico Fisim - Fondazione italiana sindromi mielodisplastiche. Sono definite malattie clonali perché il loro sviluppo è dovuto a una singola cellula che, sfuggendo ai meccanismi di controllo, dà origine a cellule alterate nella forma e nella funzionalità. La manifestazione clinica più frequente è costituita dall'anemia e, spesso, dalla necessità di trasfusioni di sangue, ma questi pazienti possono essere soggetti anche a infezioni ed emorragie. I sintomi e il decorso variano in modo significativo in base al tipo di cellula ematica colpita. I sintomi più frequenti dovuti alla carenza di emoglobina sono rappresentati da stanchezza perdita di

peso, difficoltà respiratorie e battito cardiaco accelerato. L'impatto sulla qualità di vita è enorme, soprattutto per le persone con anemia grave che devono recarsi in ospedale, in alcuni casi ogni settimana, per le trasfusioni di sangue.

Nelle forme più gravi, le sindromi mielodisplastiche possono evolvere in leucemia mieloide acuta, un tumore più aggressivo. Nella maggior parte dei casi chiarisce Matteo Della Porta, responsabile Unità Leucemie, Humanitas Cancer Center Milano, professore ordinario di Ematologia Humanitas University le cause della malattia sono sconosciute, perché non è noto il meccanismo che dà il via al processo di modifica del Dna di una delle cellule staminali del midollo osseo. Vi sono anche forme secondarie legate all'esposizione a fattori di rischio professionale, ad esempio a sostanze chimiche come benzene, piombo o solventi. Inoltre, alcuni pazienti possono sviluppare la malattia in seguito a precedenti trattamenti con chemioterapia o radioterapia, utilizzati per curare altre neoplasie.

In Italia si stimano ogni anno circa 3 mila nuovi casi di sindromi mielodisplastiche, soprattutto in anziani con età superiore ai 70 anni. Si tratta di una cifra al ribasso, perché molte persone non ricevono un corretto e tempestivo inquadramento diagnostico continua Della Porta. L'insufficienza di globuli rossi, in quasi tutti i pazienti, nel tempo diventa severa e necessita di un supporto con regolari trasfusioni di sangue. Nel trattamento delle sindromi mielodisplastiche a basso rischio, pochi pazienti mostrano una risposta duratura agli agenti stimolanti l'eritropoiesi. Circa il 30% non è candidabile a riceverli o non ne trae beneficio e un altro 30% ha un effetto limitato nel tempo, non superiore a 1 anno. Si conferma, quindi, la necessità di opzioni terapeutiche. Luspatercept è il primo farmaco in 40 anni a dimostrare superiorità rispetto alla epoetina alfa, agente che stimola l'eritropoiesi e per decenni terapia di riferimento, riducendo in modo sostanziale il fabbisogno trasfusionale.

Il farmaco riporta la nota è stato valutato rispetto ad epoetina alfa nello studio Commands, pubblicato su The Lancet e presentato per la prima volta nel 2023 in Sessione plenaria al congresso della Società europea di ematologia, per il trattamento di prima linea dell'anemia nei pazienti adulti con sindromi mielodisplastiche a rischio molto basso, basso o intermedio, che richiedono trasfusioni di globuli rossi. Luspatercept riferisce Santini agisce in maniera del tutto innovativa sulla eritropoiesi inefficace, aumentando la quantità di globuli rossi interferendo con i segnali negativi che nelle mielodisplasie ne sopprimono la produzione. Nello studio Commands quasi il doppio dei pazienti trattati con luspatercept ha ottenuto l'indipendenza dalle trasfusioni con conseguente aumento dell'emoglobina: il 60% rispetto al 35% con epoetina alfa, compresi i sottogruppi di pazienti con caratteristiche clinicamente rilevanti. Luspatercept ha dimostrato una risposta duratura, con una durata mediana del tempo libero da trasfusioni superiore a 2 anni, quasi 12 mesi in più rispetto ad epoetina alfa.

Trattare l'anemia severa trasfusione-dipendente in modo efficace è la chiave per migliorare la qualità di vita e la sopravvivenza aggiunge Della Porta. I risultati dello studio Commands sottolineano il valore clinico di luspatercept come trattamento di prima linea dell'anemia. L'approvazione di Aifa rappresenta una pietra miliare della cura della malattia, perché cambia la pratica clinica.

Il farmaco ha un meccanismo d'azione innovativo afferma Alessandro Bigagli, Senior Medical Director, Bristol Myers Squibb Italia. La nuova approvazione di Aifa rappresenta un'estensione dell'indicazione per luspatercept, includendo il trattamento di prima linea

dell'anemia negli adulti con sindromi mielodisplastiche a rischio molto basso, basso e intermedio. In questo modo, in Italia un numero maggiore di pazienti avrà la possibilità di diventare indipendente dalle trasfusioni per periodi di tempo anche superiori a 2 anni. Questo traguardo sottolinea il nostro impegno costante nell'innovazione e nello sviluppo di opzioni efficaci per i pazienti affetti da anemia correlata alla malattia.

Le sindromi mielodisplastiche sono ancora poco conosciute, anche se vi è più consapevolezza fra clinici, pazienti e istituzioni, anche grazie all'impegno di Aipasim, nata nel 2017 proprio per riempire un vuoto di conoscenza e per far comprendere l'importanza delle reti di patologia, evidenzia Annamaria Nosari, vicepresidente Associazione italiana pazienti con sindrome mielodisplastica. Questi pazienti presentano bisogni clinici e assistenziali specifici e devono essere curati in centri specializzati. Inoltre, è spesso avanzata e la presenza di copatologie precise implicano difficoltà nella gestione terapeutica, in particolare dell'anemia grave che ne rappresenta la manifestazione più frequente. I pazienti che hanno necessità di frequenti trasfusioni di sangue devono recarsi spesso in ospedale e la loro vita, di fatto, ruota intorno al centro specialistico, con riduzione della qualità della vita stessa. Per anziano spostarsi per raggiungere il centro di cura può diventare molto complesso. Si tratta di una condizione che pesa sulla famiglia e sul servizio sanitario. Grazie all'innovazione costituita da luspatercept conclude Nosari la vita dei pazienti può davvero cambiare, perché non devono recarsi frequentemente nei centri specialistici per soddisfare il fabbisogno di sangue.

??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Novembre 27, 2025

## Autore

redazione