



Malattie rare, Nf1, Santoro (Vanvitelli): «Selumetinib anche in adulti migliora qualità di vita»•

Descrizione

(Adnkronos) «Selumetinib si era già dimostrato efficace in età pediatrica nel ridurre il volume e nel controllare la crescita dei neurofibromi, stabilizzando la malattia dei plessiformi, ma anche controllando il dolore, con forti ricadute sulla qualità di vita. Avere adesso a disposizione la stessa terapia anche per l'età adulta apre nuove frontiere terapeutiche per una fetta di pazienti che rimaneva sicuramente bisognosa di questo tipo di approccio». Cos'ha commentato Claudia Santoro, pediatra genetista dell'Uosd di Ematologia e oncologia dell'Aou L. Vanvitelli di Napoli, commenta l'estensione di indicazione, da parte dell'Ema-Agenzia europea dei medicinali, per l'impiego di selumetinib nell'età adulta. Si tratta di un farmaco inibitore di Mek spiega che è fondamentale nella via metabolica che è disregolata in chi ha una diagnosi di neurofibromatosi di tipo 1 (Nf1). Questa condizione è alla base della patogenesi delle complicanze tumorali della Nf1, in particolare del neurofibroma plessiforme.

Lo studio Komet, sulla base del quale si è fondata l'approvazione dell'Ema illustra Santoro ha dimostrato che selumetinib in età adulta è efficace rispetto al placebo nel raggiungere la risposta obiettiva confermata (Orr), quindi dando delle risposte parziali in termini di riduzione del volume della massa, con ricadute chiaramente su quelli che sono i sintomi secondari della lesione, primo fra tutti il dolore, ma anche la riduzione di tutti i sintomi che ne sono secondari. Lo studio ci ha offerto dei dati che sono ancora preliminari: aspetteremo quelli finali, perché si tratta di uno studio ancora attivo precisa l'esperta. Quello che possiamo dire è che, sulla base dei dati disponibili per l'età pediatrica, ci aspettiamo un tasso di risposta sicuramente più elevato, con una sicurezza e un'efficacia a lungo termine che saranno probabilmente compatibili con quelli già osservati sui bambini.

Fino a poco tempo fa sottolinea Santoro potevamo usare questo farmaco, l'unico al momento disponibile sul territorio nazionale, solamente in persone con meno di 18 anni, ma l'Nf1 è una patologia che dà complicanze quoad vitam, quindi che influiscono sulla sopravvivenza del paziente, e il plessiforme, seppur congenito, dà problemi per tutta la vita e un tasso di crescita più o meno costante per ciascun paziente. Non potevamo lasciare fuori gli adulti e non offrire loro questa scienza terapeutica che conclude ha sicuramente modificato drammaticamente la storia

naturale della patologiaâ?•.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 12, 2025

Autore

redazione

default watermark