



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

Descrizione

(Adnkronos) Selumetinib si era giÃ dimostrato efficace in etÃ 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 qualitÃ di vita. Avere adesso a disposizione la stessa terapia anche per lâ??etÃ adulta apre nuove frontiere terapeutiche per una fetta di pazienti che rimaneva sicuramente bisognosa di questo tipo di approccio. CosÃ¬ Claudia Santoro, pediatra genetista dellâ??Uosd di Ematologia e oncologia dellâ??Aou L. Vanvitelli di Napoli, commenta lâ??estensione di indicazione, da parte dellâ??Ema-Agenzia europea dei medicinali, per lâ??impiego di selumetinib nellâ??etÃ adulta. Si tratta di un farmaco inibitore di Mek che Ã“ fondamentale nella via metabolica che Ã“ disregolata in chi ha una diagnosi di neurofibromatosi di tipo 1 (Nf1). Questa condizione Ã“ alla base della patogenesi delle complicanze tumorali della Nf1, in particolare del neurofibroma plessiforme.

Lo studio Komet, sulla base del quale si Ã“ fondata lâ??approvazione dellâ??Ema illustra Santoro ha dimostrato che selumetinib in etÃ adulta Ã“ 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 ha offerto dei dati che sono ancora preliminari: aspetteremo quelli finali, perchÃ© si tratta di uno studio ancora attivo. Precisa lâ??esperta Quello che possiamo dire Ã“ che, sulla base dei dati disponibili per lâ??etÃ pediatrica, ci aspettiamo un tasso di risposta sicuramente piÃ¹ elevato, con una sicurezza e unâ??efficacia a lungo termine che saranno probabilmente compatibili con quelli giÃ osservati sui bambini.

Fino a poco tempo fa sottolinea Santoro potevamo usare questo farmaco, lâ??unico al momento disponibile sul territorio nazionale, solamente in persone con meno di 18 anni, ma lâ??Nf1 Ã“ una patologia che dÃ complica la sopravvivenza del paziente, e il plessiforme, seppur congenito, dÃ problemi per tutta la vita e un tasso di crescita piÃ¹ o meno costante per ciascun paziente. Non potevamo lasciare fuori gli adulti e non offrire loro questa scienza terapeutica che ha sicuramente modificato drammaticamente la storia.

naturale della patologia?•.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 12, 2025

Autore

redazione

default watermark