



Angioedema ereditario, ok Ue a prima terapia preventiva mirata allâ??Rna

## Descrizione

(Adnkronos) â?? La Commissione europea ha concesso lâ??autorizzazione alla commercializzazione di donidalorsen per la profilassi a lungo termine degli attacchi ricorrenti dellâ??angioedema ereditario (Hae) negli adulti e negli adolescenti con etÃ pari o superiore ai 12 anni. Lo annuncia in una nota Otsuka Pharmaceutical Europe, specificando che si tratta della prima terapia profilattica mirata allâ??Rna per questi pazienti. Lâ??Hae â?? spiega lâ??azienda â?? Ã" una malattia genetica che causa episodi imprevedibili di gonfiore che possono interessare gli arti, il viso, lâ??addome, gli organi genitali e la laringe. Circa il 50% dei pazienti presenta i primi sintomi entro i 10 anni e comunque la maggior parte manifesta i primi segni clinici o il primo attacco entro i 18 anni. Ansia e depressione sono comuni nei pazienti con Hae, spesso causate dalla natura imprevedibile, dalla frequenza e dalla gravitÃ degli episodi di gonfiore.

â??Lâ??angioedema ereditario colpisce i pazienti sia sul piano fisico che psicologico, con sintomi che possono minare fortemente la qualitÃ di vitaâ?•, afferma Mauro Cancian, responsabile dellâ??Uosd Allergologia dellâ??azienda ospedale universitÃ di Padova, presidente del network italiano per lâ??angioedema Itaca e chair dellâ??Angioedema Working Group dellâ??Eaaci. â??Donidalorsen Ã" in grado di inibire la sintesi di precallicreina (Pkk), enzima che ricopre un ruolo fondamentale nellâ??attivazione dei mediatori infiammatori associati agli attacchi acuti della malattia, e quindi di ridurre in modo significativo la frequenza di questi ultimi â?? illustra lâ??esperto â?? Inoltre donidalorsen, che offre la possibilitÃ di ridurre il numero di somministrazioni rispetto alle attuali profilassi minimizzando quindi il burden of treatment, rappresenta unâ??opportunità preziosa di profilassi a lungo termine sia per i pazienti che provengono da una terapia on demand, mirata unicamente alla risoluzione dellâ??attacco, sia per quanti provengono da una precedente terapia profilattica che non Ã" risultata efficace o che comportava effetti collaterali significativiâ?•.

â??In quanto prima terapia mirata allâ??Rna approvata in Europa per lâ??Hae, donidalorsen rappresenta un importante sviluppo delle opzioni terapeutiche per la prevenzione degli attacchi â?? aggiunge Henrik Balle Boysen, presidente, Hae International (Haei), la rete globale delle organizzazioni di pazienti â?? Lâ??approvazione offre alle persone con angioedema ereditario e ai loro medici unâ??ulteriore possibilitÃ di adattare il trattamento alle esigenze individualiâ?•.

Nello studio registrativo di fase 3 (Oasis-Hae) in doppio cieco, multicentrico, randomizzato, in pazienti con Hae tipo 1 e tipo 2 controllato con placebo (n=90) l'utilizzo di donidalorsen 80mg ogni 4 settimane (Q4W) ha prodotto una riduzione dell'81% del tasso di attacchi da Hae a 4 settimane rispetto a placebo (tasso medio di attacchi 0,44 vs 2,26 rispettivamente) nell'arco di 24 settimane, raggiungendo l'endpoint primario dello studio, riporta la nota. Una riduzione del 55% (tasso medio di attacchi 1,02 vs 2,26 del placebo) è stata osservata con il dosaggio ogni 8 settimane (Q8W). Alla settimana 24 il 91% dei pazienti con somministrazione Q4W presentava malattia ben controllata rispetto al 41% dei pazienti nel gruppo placebo, secondo la misurazione con l'Angioedema Control Test, ed è stato osservato un miglioramento della qualità di vita, dimostrato da una riduzione rispetto al valore basale di 24,8 punti nel punteggio totale medio di Angioedema Quality-of-Life. Nello studio non sono stati identificati gravi eventi avversi, e i profili sicurezza erano simili in entrambi i dosaggi Q4W e Q8W. Gli eventi avversi più comuni comprendono reazioni nel sito dell'iniezione, tipiche delle profilassi sottocutanee, aumento transitorio degli enzimi epatici e reazioni di ipersensibilità (compreso un caso di anafilassi).

Nel 2023 ricorda Otsuka è Ionis Pharmaceuticals, Inc e Otsuka Pharmaceutical Co, Ltd hanno stipulato l'accordo iniziale di licenza per la commercializzazione di donidalorsen in Europa, con la successiva estensione all'area Asia Pacifico. Ionis ha mantenuto lo sviluppo clinico di donidalorsen e la responsabilità del suo lancio negli Stati Uniti e Otsuka ha utilizzato la sua esperienza nel settore delle malattie rare e l'infrastruttura commerciale per preparare i futuri lanci sul mercato.

Donidalorsen è dichiara Alessandro Lattuada, Managing Director Otsuka Italia è potrebbe rappresentare un'opzione utile per le persone con angioedema ereditario, contribuendo a migliorare la gestione della quotidianità, sia in ambito lavorativo che scolastico, dove diversi studi hanno evidenziato riduzioni di produttività legate alla malattia. La sua approvazione è il risultato della collaborazione tra Otsuka e Ionis, che hanno lavorato insieme con l'obiettivo di migliorare la cura dei pazienti.

Siamo orgogliosi della decisione della Commissione europea di autorizzare l'utilizzo di donidalorsen nell'Hae è commenta Andy Hodge, presidente e Ceo di Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd è Questa decisione rappresenta un'altra pietra miliare fondamentale nella collaborazione tra Otsuka e Ionis, volta a rispondere ai bisogni terapeutici insoddisfatti di una malattia rara e complessa. Vorremmo ringraziare tutti coloro che, in Otsuka e Ionis, con il loro impegno ci hanno aiutato a offrire questo medicinale ai pazienti affetti da Hae. La decisione fa seguito al parere positivo del Committee for Medicinal Products for Human Use (Chmp) dell'Agenzia europea dei medicinali (Ema) di novembre 2025. La nuova autorizzazione si riferisce ai 27 Stati membri della Ue, Islanda, Liechtenstein e Norvegia.

È

salute

[webinfo@adnkronos.com](mailto:webinfo@adnkronos.com) (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

---

## 1. Ultimora

**Data di creazione**

Gennaio 21, 2026

**Autore**

redazione

*default watermark*