



Sindrome di Alagille, ok Aifa a rimborso trattamento prurito colestatico

Descrizione

(Adnkronos) L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilità, da parte del Servizio sanitario nazionale, di odevixibat (Kayfanda®) per il trattamento del prurito colestatico associato alla Sindrome di Alagille (Algs), con Gazzetta Ufficiale n. 21 del 27-1-2026.

Lo annuncia Ipsen con un comunicato spiegando che odevixibat è un inibitore potente, selettivo e reversibile del trasportatore ileale degli acidi biliari (Ibat), indicato per il trattamento del prurito colestatico associato all'Alg in pazienti di età pari o superiore a 6 mesi.

La Sindrome di Alagille è una malattia genetica rara autosomica dominante causata da mutazioni nei geni Jag1 o Notch2, che di solito si manifesta nei primi 3 mesi di vita e colpisce circa 1 su 30 mila a 50 mila nati vivi. Si tratta di una patologia multisistemica che può coinvolgere il fegato, il cuore, gli occhi, i reni, ossa/vertebre e il viso, ed è potenzialmente fatale con una mortalità fino al 10% legata soprattutto a problematiche cardiache e insufficienza epatica, con un conseguente carico clinico e sociale estremamente elevato.

Fino al 95% dei bambini presenta sintomi colestatici persistenti, come il prurito cronico, che compromettono la vita quotidiana, mentre circa il 60% necessita di un trapianto di fegato entro i 18 anni. Il prurito colestatico può essere severo e refrattario ai trattamenti standard ed è spesso associato a disturbi del sonno, lesioni cutanee e alterazioni dell'umore, oltre a difficoltà nutrizionali che in molti casi richiedono alimentazione tramite sondino.

L'approvazione della rimborsabilità di odevixibat rappresenta, dunque, un ulteriore passo avanti nel portare alla comunità di pazienti e a quella scientifica opzioni terapeutiche innovative, particolarmente urgenti quando si parla di malattie pediatriche rare. È fondamentale poter mettere a disposizione dei pazienti affetti dalla Sindrome di Alagille un'opzione terapeutica come odevixibat, che ha dimostrato un profilo di efficacia e sicurezza favorevole sia nel breve che nel lungo termine, afferma Emanuele Nicastro dell'Epatologia Pediatrica e dei Trapianti dell'Ospedale di Bergamo ASST Papa Giovanni XXIII e attuale vicepresidente della SIGENP, Società Italiana di Gastroenterologia Epatologia e Nutrizione Pediatrica. Oltre ai dati relativi alla riduzione del prurito colestatico e dei livelli di acidi biliari, chiarisce, rivestono particolare rilevanza anche le evidenze che

documentano un miglioramento dei parametri del sonno e della qualità di vita dei bambini e delle loro famiglie, aspetti clinicamente significativi in una patologia con forte impatto quotidiano come Algsâ?•.

Aggiunge la presidente di Alagille Italia Odv, Martina Brotto: â??Per chi segue quotidianamente bambini con Sindrome di Alagille, il prurito colestatico Ã" uno degli aspetti piÃ¹ difficili da gestire: disturba il sonno, limita la vita sociale, interferisce con la crescita e ha un impatto enorme sullâ??intero nucleo familiare. La decisione di Aifa di rendere rimborsabile odevixibat apre finalmente la possibilitÃ di intervenire con un trattamento specifico, offrendo ai pazienti una nuova prospettiva terapeutica e ai medici nuovi strumenti per gestire la malattia e i suoi sintomiâ?•.

â??Questo nuovo traguardo conferma ulteriormente lâ??impegno di Ipsen nel rendere disponibili farmaci trasformativi in grado di migliorare la qualitÃ di vita dei pazienti con Sindrome di Alagille, dai piÃ¹ piccoli, con benefici che si riflettono anche sul benessere delle loro famiglie, fino agli adulti â?? sottolinea Irina Zotova, presidente e amministratore delegato Ipsen Italia â?? A soli pochi mesi dallâ??approvazione italiana di elafibranor per la colangite biliare primitiva (Pbc), siamo davvero orgogliosi di continuare a contribuire ai progressi oggi possibili nel trattamento di diverse malattie rare ad alto bisogno terapeutico, portando opzioni che possono davvero fare la differenza nella vita dei pazienti e nel sistema sanitario in generaleâ?•.

Lâ??approvazione di odevixibat â?? informa Ipsen â?? si basa sui dati dello studio di fase III Assert e della sua estensione e Assert-Ext, che hanno valutato la sua efficacia e sicurezza in pazienti con Sindrome di Alagille dimostrando â??una riduzione rapida e significativa del prurito, mantenuta nel tempo fino a 96 settimaneâ?•, quindi fino a 2 anni. Sono stati registrati miglioramenti anche sul â??sonno con una riduzione dei risvegli e della stanchezza diurna, una riduzione significativa degli acidi biliari sierici, miglioramenti della crescita in altezza e, in generale, un miglioramento sulla qualitÃ di vita dei pazientiâ?• e dei loro caregiver.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Gennaio 28, 2026

Autore

redazione