



Mieloma multiplo, rimborso per Car-T cilta-cel nella seconda linea di trattamento

Descrizione

(Adnkronos) Nel trattamento del mieloma multiplo oggi rimborsata in Italia la terapia Ciltacabtagene autoleuvel (cilta-cel) a base di cellule T con recettore dell'antigene chimerico (Car-T), sviluppata da Johnson & Johnson. Il trattamento, ad oggi unica terapia avanzata utilizzabile in linee precoci di trattamento spiega l'azienda in una nota. È indicato in pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno una precedente terapia, inclusi un agente immunomodulante e un inibitore del proteasoma, nei quali si è verificata progressione della malattia durante l'ultima terapia e che sono refrattari a lenalidomide.

Il mieloma multiplo è un tumore del sangue che ha origine nel midollo osseo ed è causato dalla proliferazione incontrollata delle plasmacellule neoplastiche, ricorda J&J. Seppur con un'incidenza nel complesso stabile, con circa 5.700 nuove diagnosi ogni anno, la mortalità è in calo, grazie ai progressi della ricerca scientifica. Si tratta di una malattia caratterizzata dal susseguirsi di recidive e trattamenti, periodi di remissione sempre più brevi e l'aumento dei tassi di tossicità e comorbidità man mano che si susseguono le linee di trattamento.

Avere la possibilità di trattare un paziente che ha ricevuto solo una linea di terapia, a differenza di pazienti in recidiva dopo almeno 3 linee di terapia attuale approvazione delle Car-T in Italia significa intervenire in una fase di malattia in cui ci si aspetta una maggiore efficacia dei trattamenti, sia per una minor potenziale resistenza alle terapie, sia perché ci si avvale di un sistema immunitario meno compromesso rispetto a uno sottoposto a molteplici trattamenti terapeutici, afferma Francesca Gay, professore associato di Ematologia, Dipartimento di Biotecnologie e Scienza per la salute, università degli Studi di Torino, Divisione di Ematologia dell'azienda ospedaliera Città della Salute e della Scienza di Torino. I dati disponibili continuano a mostrare un'efficacia di trattamento anche nei pazienti che hanno mostrato refrattarietà alla lenalidomide, parte ormai integrante della maggior parte dei trattamenti di prima linea. Questa modalità di cura one-shot è destinata a cambiare l'approccio alla malattia: per anni il trattamento dei pazienti affetti da mieloma multiplo si basava su un trattamento continuativo, virtualmente proseguito fino a ripresa di malattia o finché tollerato. Questo nuovo approccio terapeutico, con alti potenziali di risposta, per la prima volta consentirà finalmente un intervallo libero da trattamento con conseguente miglioramento potenziale anche della qualità di vita dei pazienti. Grazie a queste innovazioni, inoltre, si sta parlando sempre più

frequentemente del concetto di cura anche nel mieloma multiplo, dove l'obiettivo è garantire il controllo della malattia a lungo termine, consentendo al paziente di condurre una vita il più possibile normale e in assenza di terapia.

Cilta-cel è un'immunoterapia basata sulla riprogrammazione genetica dei linfociti T di un paziente, illustra la nota. Attraverso l'integrazione di un transgene codificante per un recettore chimerico dell'antigene (Car), queste cellule vengono istruite a identificare ed eliminare le cellule che esprimono l'antigene di maturazione delle cellule B (Bcma), proteina altamente espressa su quelle di mieloma. Proprio per la sua complessità, cilta-cel, come altre terapie a base di Car-T, può essere somministrata solo in centri trapianti specializzati e certificati sul territorio nazionale.

Il percorso Car-T è un vero e proprio viaggio di medicina personalizzata che trasforma il sistema immunitario del paziente in un farmaco vivo - descrive Stefania Bramanti, caposezione Terapie cellulari, Irccs Istituto clinico Humanitas, Milano - Tutto inizia con l'afesi, il prelievo dei linfociti T del paziente, che vengono poi inviati a laboratori specializzati per essere riprogrammati geneticamente. Contemporaneamente, al paziente viene somministrata una terapia ponte per evitare la progressione della malattia. Dopo un ciclo di chemioterapia, le cellule potenziate vengono reinfuse nel paziente, ma non prima che vengano effettuati rigorosi controlli di qualità sulle cellule stesse: qui che inizia la sorveglianza attiva per monitorare la risposta immunitaria del paziente. La procedura stessa di sviluppo del farmaco è articolata: il passaggio dall'afesi alla reinfusione non è immediato: ci sono altri quattro passaggi fondamentali che garantiscono l'effettiva fruibilità della terapia. Proprio data la loro complessità l'erogazione di Car-T richiede un coordinamento a livello medico e a livello logistico per renderle effettivamente operative: serve una certificazione rigorosa dei centri e una formazione specifica di tutto il personale per garantire un'equa accessibilità alla terapia su tutto il territorio nazionale.

Nel complesso percorso delle Car-T, le associazioni di pazienti hanno un ruolo fondamentale per integrare l'eccellenza scientifica con un sistema di informazione trasparente e un supporto emotivo costante per il malato e la sua rete familiare - evidenzia Davide Petruzzelli, presidente dell'associazione La Lampada di Aladino Ets - Se il progresso scientifico avanza rapidamente, a volte invece il sistema sanitario fatica a tenere il passo per quanto riguarda la gestione, l'organizzazione dei servizi e la loro accessibilità, anche a causa di limiti procedurali e di pianificazione. Per questo è necessario migliorare il supporto ai pazienti che devono spostarsi e avvicinare i servizi al territorio. Come associazione, ci impegniamo per fornire supporto completo alle persone colpite dal cancro, inclusi malati, ex malati, familiari, caregiver e lungoviventi, offrendo assistenza a 360 gradi grazie a un'equipe multidisciplinare che propone interventi personalizzati finalizzati al recupero di una buona qualità di vita.

L'auspicio, per Matilde Cani, responsabile Progetti istituzionali Ail - Associazione italiana contro le leucemie, i linfomi e il mieloma, Milano Monza Brianza - è che l'accesso a questa e alle altre terapie innovative possa essere sempre il più rapido ed equo su tutto il territorio nazionale. L'associazione - da oltre 50 anni - è al fianco dei pazienti ematologici con l'obiettivo di sostenere la ricerca, l'assistenza e sensibilizzare l'opinione pubblica contro i tumori del sangue. Attraverso l'opera delle 83 sezioni provinciali, il nostro impegno ultimo è di contribuire a curare al meglio i pazienti.

Il via libera al rimborso da parte dell'Agencia italiana del farmaco (Aifa) riporta la nota si è basata sui risultati dello studio di fase 3 Cartitude-4 che ha valutato l'efficacia e sicurezza di cilta-cel in pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto da una a tre linee di trattamento precedenti, tra cui un inibitore del proteasoma e un agente immunomodulante, nei quali si è verificata progressione della malattia durante l'ultima terapia e che presentano refrattarietà a lenalidomide, rispetto alle terapie standard di pomalidomide, bortezomib e desametasone o daratumumab, pomalidomide e desametasone. Nello specifico, al cut-off dei dati a 33,6 mesi dell'analisi intention-to-treat è stata riscontrata una riduzione del rischio di progressione del 71%, supportata da un dato statisticamente significativo di riduzione del rischio di morte del 45%.

Le terapie Car-T necessitano di un processo produttivo molto complesso, per ottimizzare il quale J&J ha affrontato una serie di investimenti finalizzati alla realizzazione e apertura di un nuovo sito produttivo dedicato allo sviluppo queste terapie a Gand, in Belgio, volto a soddisfare la richiesta di cilta-cel in tutta Europa, compresa l'Italia. Da oltre 30 anni Johnson & Johnson investe nella ricerca scientifica per lo sviluppo di farmaci innovativi che rispondano ai bisogni di cura dei pazienti e per essere al fianco di medici nel trattamento dei tumori ematologici e solidi dichiara Alessandra Baldini, direttrice medica, Innovative Medicine, Johnson & Johnson Italia. L'arrivo in Italia di questa terapia rappresenta per noi un nuovo passo verso la nostra missione di trasformare il decorso di questa malattia devastante. Questo traguardo enfatizza anche la centralità della medicina personalizzata, nella ricerca e sviluppo di Johnson & Johnson, con l'idea di costruire un percorso terapeutico personalizzato affinché tutti i pazienti ricevano il trattamento più giusto e più efficace, sulla base dei bisogni di ciascuno, contribuendo a costruire una medicina del futuro basata sulla personalizzazione delle cure. Aggiunge Jacopo Murzi, amministratore delegato, Innovative Medicine, Johnson & Johnson Italia: Da molti anni lavoriamo con passione e dedizione per combattere il mieloma multiplo, rinnovando la nostra volontà di guidare l'innovazione terapeutica e ridefinire i paradigmi di trattamento. In Johnson & Johnson consideriamo la salute come un investimento, necessario per rispondere con efficacia e tempestività ai bisogni di cura insoddisfatti dei pazienti. Come partner del sistema salute, collaborando con istituzioni, comunità scientifica e associazioni pazienti, continuiamo a investire in Italia in innovazione e studi clinici soprattutto in ambito oncoematologico per trasformare la scienza in benefici tangibili per i pazienti.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Aprile 27, 2026

Autore

redazione