Amiloidosi, esperta: â??RimborsabilitÃ eplontersen attesa nei primi mesi 2026â?•

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Nel trattamento dellâ??amiloidosi ereditaria da transtiretina con polineuropatia (Attrv-Pn), â??si affaccia allâ??orizzonte eplontersen, una molecola innovativa per cui ci aspettiamo il via libera alla rimborsabilitÃ entro i primi 6 mesi del 2026â?•. Del farmaco â??Ã¨ stato valutato il beneficio in termini di costo-efficacia e di impatto sociale, oltre che tanti altri aspetti, rispetto ai bisogni insoddisfatti della patologiaâ?•. Lo ha detto Laura Obici, ricercatrice del Centro per lo studio e la cura delle amiloidosi della Fondazione Irccs Policlinico San Matteo di Pavia, intervenendo a Genova al 46Â° Congresso nazionale Sifo â?? SocietÃ italiana di farmacia ospedaliera e dei servizi farmaceutici delle aziende sanitarie.

Come ha evidenziato lâ??analisi Hta (Health Technology Assessment) â?? processo multidisciplinare finalizzato a valutare lâ??impatto di una tecnologia sanitaria dal punto di vista economico, clinico, etico e sociale al fine di guidare le scelte di politica sanitaria â?? il farmaco â??ha alcune caratteristiche importantiâ?•, illustra Obici: â??Innanzitutto lâ??autosomministrazione e la possibilitÃ di somministrarlo con una frequenza minore rispetto a quella dellâ??antisenso precedente. Si somministra infatti una volta ogni 4 settimane, non richiede premedicazione e ha un ottimo profilo di sicurezza e tollerabilitÃ â?•.

Lâ??amiloidosi ereditaria da transtiretina â??Ã¨ una malattia genetica rara a trasmissione autosomica dominante â?? spiega lâ??esperta â?? causata dallâ??accumulo nei tessuti di un materiale insolubile proteico, formato appunto dalla proteina plasmatica chiamata transtiretina. Si tratta di una proteina di trasporto che ha come funzioni biologiche principali quella di trasportare la tiroxina e la vitamina A attraverso la retinol binding protein (Rbp). In presenza di mutazioni, la proteina diventa piÃ¹ instabile, perde la sua struttura nativa e si accumula in forma di fibrille di amiloide allâ??interno di diversi organi e tessuti, soprattutto a livello dei nervi periferici e del cuore. Le manifestazioni cliniche sono in realtÃ molto eterogenee, perchÃ© i tessuti colpiti sono pressochÃ© tutti. La polineuropatia sensitivo-motoria e autonomica, perÃ², domina il quadro clinico di questi pazienti ed Ã¨ il motivo per cui abbiamo necessitÃ di trattamenti che abbiano questa indicazioneâ?•.

Sulla patologia, â??lâ??epidemiologia Ã¨ in continua evoluzione â?? riferisce Obici â?? Eâ?? una malattia rara, quindi non Ã¨ semplice comprenderne la prevalenza e lâ??incidenza. Diversi studi recenti

mostrano che la prevalenza sta aumentando grazie a una maggiore consapevolezza di questa patologia, sia tra gli specialisti neurologi che cardiologi. Solo fino a qualche anno fa il registro Telethon dava una prevalenza italiana di 4 casi per milione di abitanti, mentre 2 studi recenti lâ??hanno portata prima a 6 casi e poi a 7,5 casi per milione di abitanti. Stimiamo dunque circa 500 pazienti viventi in Italia, calcolando che gli studi vedono lâ??esperienza dei centri piÃ¹ dedicati alla malattiaâ?•.

I pazienti con Attrv-Pn â??hanno molti bisogni ancora insoddisfatti â?? sottolinea la specialista â?? In primo luogo, Ã¨ necessaria maggiore precocitÃ nella diagnosi: ci sono ancora molti pazienti che hanno un danno permanente legato ad un riconoscimento tardivo della malattia. Eâ?? poi necessario intervenire piÃ¹ precocemente con farmaci in grado anche di restituire, almeno parzialmente, una capacitÃ funzionale ai pazienti. Disponiamo infatti di terapie efficaci nel rallentare la progressione della malattia. Infine, ci sono aspetti legati alla gestione multi sistemica della patologia: essendo cosÃ¬ tanti gli organi e i tessuti interessati, molti specialisti sono coinvolti nella presa in carico e nella cura di questi pazienti. Purtroppo â?? conclude Obici â?? ancora non tutti i centri hanno queste competenze multidisciplinari e ci sono aspetti, anche di carico psicologico per il paziente e per i familiari, che necessiterebbero di una gestione piÃ¹ accurataâ?•.

default watermark

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Novembre 10, 2025
Autore
redazione