



Angioedema ereditario, ora la prima terapia preventiva mirata all'RNA

Descrizione

(Adnkronos) La Commissione europea ha concesso l'autorizzazione alla commercializzazione di donidalorsen per la profilassi a lungo termine degli attacchi ricorrenti dell'angioedema ereditario (Hae) negli adulti e negli adolescenti con età pari o superiore ai 12 anni. Lo annuncia in una nota Otsuka Pharmaceutical Europe, specificando che si tratta della prima terapia profilattica mirata all'RNA per questi pazienti. L'Hae spiega l'azienda "è una malattia genetica che causa episodi imprevedibili di gonfiore che possono interessare gli arti, il viso, l'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 gravità degli episodi di gonfiore.

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

In quanto prima terapia mirata all'RNA approvata in Europa per l'Hae, donidalorsen rappresenta un importante sviluppo delle opzioni terapeutiche per la prevenzione degli attacchi" aggiunge Henrik Balle Boysen, presidente, Hae International (Haei), la rete globale delle organizzazioni di pazienti. L'approvazione offre alle persone con angioedema ereditario e ai loro medici un'ulteriore possibilità di adattare il trattamento alle esigenze individuali.

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 e Ionis Pharmaceuticals, Inc e Otsuka Pharmaceutical Co, Ltd hanno stipulato un 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 dichiara Alessandro Lattuada, Managing Director Otsuka Italia 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 commenta Andy Hodge, presidente e Ceo di Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd. 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.

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Gennaio 21, 2026

Autore

redazione

default watermark