



Attrv-Pn, Ceccanti (La Sapienza): «Eplontersen amplia opzioni terapeutiche»

## Descrizione

(Adnchronos) «L'approvazione del nuovo farmaco, eplontersen, per l'amiloidosi ereditaria mediata da transtiretina consente benefici sia ai pazienti sia ai medici che li hanno in cura. Il paziente ha un'opportunità che viene somministrata per via sottocutanea una volta al mese, non fa sentire il paziente particolarmente malato, ma gli garantisce una stabilità e un controllo della sintesi transtiretina da parte del suo fegato, riducendola in maniera significativa. Tutto ciò rende anche il medico più tranquillo nel poter prescrivere un farmaco che può essere somministrato in modo agevole da parte del paziente e che non ha ricadute sull'impegno organizzativo del centro, perché questa terapia può essere somministrata anche a domicilio, senza occupare spazi già affollati come gli ambulatori dei centri dedicati alla cura della malattia». Cos'è - Marco Ceccanti, ricercatore presso il Dipartimento di Neuroscienze umane, Uosd Malattie neurodegenerative università La Sapienza di Roma, intervenendo all'incontro con la stampa promosso da AstraZeneca oggi a Milano in occasione della rimborsabilità di eplontersen da parte dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), per il trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata da transtiretina nei pazienti adulti con polineuropatia (AttRv-Pn) di stadio 1 o 2.

Questa malattia rara in Europa interessa meno di 5 persone ogni 10mila abitanti continua Ceccanti. In questo caso abbiamo una survey recente, condotta dai gruppi che si occupano di questa patologia in Italia, e sappiamo che la prevalenza nel nostro Paese si attesta intorno ai 6 casi ogni milione di persone. Si tratta di una patologia genetica, in cui un errore nel codice genetico che codifica per la proteina della transtiretina induce un'instabilità della proteina stessa, che tende a precipitare, potenzialmente, in qualunque tessuto periferico, nel cuore e nel sistema nervoso periferico. Si tratta di una malattia a evoluzione e a prognosi infausta, nell'arco di pochi anni, prevalentemente per un problema di scompenso cardiaco, quindi per un interessamento cardiologico. Contemporaneamente, per l'evidenza lo specialista in questi anni di malattia c'è un peggioramento della qualità di vita del paziente strettamente connesso all'interessamento polineuropatico, quindi del sistema nervoso periferico, che si manifesta come una perdita della sensibilità, del tatto alle braccia, alle gambe e un peggioramento della deambulazione, una riduzione quindi dell'autonomia, fino ad arrivare alla necessità di utilizzo della carrozzina per gli spostamenti o anche all'allettamento. Contemporaneamente, c'è per un interessamento anche del sistema nervoso autonomo, che riguarda i movimenti involontari, come quelli del tratto gastrointestinale alla

nostra frequenza cardiaca, cos'è come anche alcune delle funzioni sessuali, con un peggioramento della qualità di vita molto importante nel paziente. Quando vengono in ambulatorio, chiedono di avere normale frequenza di evacuazione, una normale capacità di digerire o di non avere giramenti di testa quando si alzano in piedi all'improvviso. Questo per loro può essere più importante che mantenere la stessa capacità di deambulazione. Gli studi hanno colto questo tipo di richiesta da parte dei pazienti, inserendo all'interno degli endpoint, quindi gli scopi con cui viene valutata l'efficacia dei farmaci, anche delle scale che valutano questi aspetti.

In particolare, nell'ambito dello studio di fase 3 Neuro-TTRansform è stata studiata una scala da Compass-31, che viene somministrata al paziente stesso che risponde a delle alterazioni della funzionalità autonoma. I pazienti trattati con questo inibitore di sintesi della transtiretina conclude l'esperto dimostravano, nel corso del tempo, un miglioramento degli outcome. Anche nella scala utilizzata per l'endpoint principale, la cosiddetta mNIS+7 è una scala composita che prende in considerazione i disturbi sensitivi e motori, caratterizzanti la patologia, oltre ai disturbi di disautonomia il farmaco si è rivelato efficace rispetto al placebo.

?

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Settembre 21, 2026

## Autore

redazione