



Deficit lipasi acida lisosomiale, Aismme: “Sebelipase alfa cambia vita dei pazienti”

Descrizione

(Adnkronos) L'arrivo di questa nuova opzione terapeutica rappresenta un valore enorme per i pazienti: avere a disposizione una terapia innovativa cambia radicalmente la storia naturale della patologia. Il paziente si rende conto che la sua vita sta cambiando, sta migliorando, e questo gli permette di avere molta più fiducia nel futuro. Si tratta di un'innovazione che deve coinvolgere l'intero sistema di cura, il quale ha il compito di accompagnare la persona e organizzarle un percorso assistenziale strutturato dall'infanzia fino all'età adulta e all'anzianità. Lo ha detto Manuela Vaccarotto, vicepresidente Associazione italiana sostegno malattie metaboliche ereditarie Aps (Aismme), oggi a Milano all'incontro con la stampa organizzato da Alexion, biofarmaceutica del gruppo AstraZeneca, per il lancio in Italia di sebelipase alfa, terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di pazienti di tutte le età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (Lal-D).

Vaccarotto ha posto l'accento sui ritardi diagnostici che colpiscono questa patologia ultra-rara: “La nostra campagna “Se non la conosci non la riconosci” nasce proprio per stimolare la conoscenza e la consapevolezza su questa malattia. Purtroppo ha spiegato essendo classificata tra le malattie rare o ultra-rare, spesso i professionisti sanitari non se ne occupano e non ne hanno la minima idea. Fare informazione e formazione su questo tema è cruciale per far sì che i camici bianchi, a partire dai pediatri di base, acquisiscano le competenze minime per intercettare i primi segnali e i sintomi. Una diagnosi precoce o precocissima permette al paziente di iniziare tempestivamente i trattamenti e di accedere a una presa in carico adeguata”.

Vaccarotto ha espresso profonda soddisfazione anche per il recente traguardo della rimborsabilità del trattamento in Italia: “Come associazione ci occupiamo di malattie metaboliche ereditarie con l'obiettivo di farle conoscere ai medici e migliorare i percorsi assistenziali. L'innovazione non deve essere solo terapeutica, ma deve tradursi in un'innovazione del sistema di cura complessivo. Noi ci batteremo affinché le famiglie non vengano mai lasciate sole. Da anni offriamo un centro di aiuto-ascolto e un servizio di supporto psicologico a distanza, oltre a strumenti specifici per sostenere genitori e bambini nel percorso diagnostico e terapeutico fino all'età adulta. Non dimentichiamo, infatti, che questi pazienti devono seguire terapie nutrizionali speciali: per questo abbiamo realizzato anche un volume di ricette dedicate, a basso contenuto lipidico, pensato appositamente per le loro

necessitÃ biologicheâ•, ha poi concluso.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 15, 2026

Autore

redazione

default watermark