Emofilia, in Italia nuova soluzione sottocute giornaliera per pazienti con inibitori

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? A ridosso della Giornata mondiale dellâ??emofilia (17 aprile) arriva unâ??importante novitÃ nella cura di questa patologia rara e cronica: in Italia Ã¨ disponibile concizumab, un innovativo trattamento profilattico sottocutaneo giornaliero per le persone di etÃ pari o superiore a 12 anni con emofilia A o B con inibitori, annuncia Novo Nordisk. Concizumab â?? spiega lâ??azienda in una nota â?? Ã¨ un anticorpo monoclonale sviluppato per bloccare una proteina presente nellâ??organismo, chiamata inibitore della via del fattore tissutale (Tfpi), che impedisce la coagulazione del sangue. Questa nuova molecola Ã¨ indicata per la profilassi di routine degli episodi emorragici anche per chi soffre di emofilia con inibitori. Bloccando il Tfpi, concizumab ripristina la produzione di trombina, enzima che favorisce la coagulazione del sangue e aiuta a prevenire le emorragie, anche in assenza o in caso di carenza degli altri fattori di coagulazione. Quindi consente la formazione di coaguli di sangue anche in presenza di inibitori, portando cosÃ¬ importanti vantaggi nella quotidianitÃ e nella gestione della vita. Concizumab Ã¨ ad oggi lâ??unica opzione terapeutica attualmente disponibile per lâ??emofilia B con inibitori indicata per i pazienti da 12 anni in su.

â??Lâ??introduzione di concizumab rappresenta una vera svolta terapeutica, poichÃ© colma un profondo unmet need clinico, in particolare per i pazienti con emofilia B e inibitori â?? spiega Rita Carlotta Santoro, direttore della Struttura di Emofilia, emostasi e trombosi dellâ??azienda ospedaliera Pugliese-Ciaccio di Catanzaro e presidente Aice (Associazione italiana dei centri emofilia) â?? Fino ad oggi per questa categoria di pazienti una profilassi efficace era sostanzialmente impossibile, lasciandoli senza una protezione costante. Grazie alla somministrazione sottocutanea quotidiana, questo farmaco permette finalmente di mantenere livelli emostatici stabili indipendentemente dalla presenza di inibitori. CiÃ² non solo semplifica radicalmente la gestione della malattia, ma riduce drasticamente il rischio di emorragie e la conseguente progressione del danno articolare, migliorando in modo significativo la prospettiva di vita dei pazientiâ?•.

Lâ??emofilia Ã¨ una malattia rara che compromette la capacitÃ dellâ??organismo di coagulare il sangue a causa della carenza di un fattore di coagulazione: fattore VIII nellâ??emofilia A e fattore IX nella B. Entrambe le malattie nelle forme gravi sono caratterizzate da frequenti sanguinamenti spontanei o a seguito di minimi traumi e solitamente sono trattate con la terapia sostitutiva, ovvero la somministrazione endovenosa del fattore di coagulazione mancante. In alcuni casi, perÃ², il sistema

immunitario reagisce alla terapia sostitutiva producendo inibitori contro i fattori della coagulazione infusi, un fenomeno che neutralizza lâ??efficacia del trattamento e riduce drasticamente le opzioni terapeutiche. Si stima che tale complicanza colpisca fino al 30% dei pazienti con emofilia A grave e circa il 5-10% di quelli con emofilia B grave. In Italia sti stima che le persone con emofilia A e B che sviluppano inibitori siano circa 138, riporta la nota.

â??Quando un paziente sviluppa inibitori, ci troviamo di fronte alla complicanza piÃ¹ temibile del trattamento â?? sottolinea Matteo Di Minno, ordinario di Medicina Interna allâ??universitÃ Federico II di Napoli e direttore del Centro regionale di riferimento per le emocoagulopatie â?? Non Ã¨ solo un problema di efficacia del farmaco, Ã¨ un radicale cambio di scenario clinico, che assume contorni complessi soprattutto quando si tratta di bambini o adolescenti. Lâ??inibitore, neutralizzando il fattore infuso, rende il paziente privo di protezione. Questo si traduce immediatamente in un aumento della frequenza e della gravitÃ dei sanguinamenti spontanei, con un impatto importante sulla salute delle articolazioni, aumentando la possibilitÃ di incorrere in disabilitÃ motorie precoci e a un dolore cronico difficile da gestireâ?•.

default watermark

Lâ??emofilia, oltre al suo impatto clinico sulla vita delle persone, ha anche un forte risvolto in termini psicologici, sociali e di qualitÃ di vita soprattutto quando si parla di giovani. â??Per le persone con emofilia, lâ??insorgenza di inibitori rappresenta lâ??ostacolo piÃ¹ duro da affrontare, specialmente per i bambini e gli adolescenti: proprio nellâ??etÃ dellâ??indipendenza, il corpo rifiuta la cura, con il rischio di sviluppare emorragie frequenti e un danno articolare precoce in grado di segnare il futuro â?? evidenzia Cristina Cassone, presidente Fedemo (Federazione delle associazioni emofilici) â?? In Italia si contano 138 pazienti con inibitore attivo, di cui solo 7 casi legati allâ??emofilia B; un dato, questâ??ultimo, sottostimato, ma che comunque riguarda una piccola comunitÃ di pazienti che ad oggi non hanno a disposizione una reale opzione terapeutica in profilassi. Proprio per questa raritÃ , accogliamo con estremo favore lâ??arrivo di questo nuovo farmaco: la sua facile somministrazione sottocute permette infatti ai giovani con inibitori di vivere una vita dinamica, praticare sport e frequentare la scuola senza il timore costante di sanguinamenti che la terapia tradizionale non sarebbe in grado di controllare. Questa innovazione garantisce una protezione efficace e una libertÃ dâ??azione finora impensabile, tutelando la salute delle loro articolazioni nel momento piÃ¹ critico della crescitaâ?•.

â??Sono entusiasta della promessa che questa nuova terapia rappresenta per i pazienti piÃ¹ giovani e le loro famiglie che devono affrontare la realtÃ devastante di convivere con una malattia cronica rara, con gravi ripercussioni sulla qualitÃ e aspettativa di vita â?? dichiara Jens Pii Olesen, General Manager Novo Nordisk Italia â?? Questa nuova opzione terapeutica offre la possibilitÃ di una profilassi quotidiana per aiutare a prevenire le emorragie nelle persone con emofilia A e B che hanno sviluppato inibitori. Per troppo tempo questi pazienti hanno avuto opzioni terapeutiche molto limitate; oggi compiamo un passo importante per offrire loro la possibilitÃ di una migliore qualitÃ di vita. Oltre a ridurre le emorragie, questa terapia ha il potenziale per aiutare a restituire un senso di normalitÃ ai piÃ¹ giovani: giocare, andare a scuola, fare sport, costruire amicizie e sperimentare le piccole libertÃ che ogni ragazzo merita. Il nostro impegno va oltre lâ??introduzione sul mercato di un prodotto innovativo. Si tratta di cambiare la vita quotidiana delle persone e dei loro caregiver, riducendo la paura e lâ??incertezza e portando speranza dove le opzioni terapeutiche sono scarse. Siamo onorati di affiancare medici, associazioni pazienti e famiglie nel nostro impegno per rendere questa terapia accessibile a chi ne ha piÃ¹ bisogno. Insieme, possiamo trasformare una nuova pietra miliare scientifica in un cambiamento reale e significativo per le persone con emofiliaâ?•. I dati a supporto

dellâ??approvazione in Italia di questo nuovo farmaco â?? ricorda lâ??azienda â?? si basano sullo studio di fase 3 explorer 7 che ha valutato lâ??efficacia e la sicurezza di concizumab nelle persone con emofilia A o B con inibitori al di sopra dei 12 anni. Concizumab Ã¨ disponibile in una penna portatile, premiscelata e preriempita, consentendo una somministrazione sottocutanea rapida e semplice con lâ??obiettivo di alleggerire il carico terapeutico delle regolari infusioni endovenose.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

default watermark

Data di creazione
Aprile 20, 2026
Autore
redazione