



Ipertensione polmonare arteriosa, ok a rimborso per biologico innovativo

Descrizione

(Adnkronos) L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilità di sotatercept, in associazione ad altre terapie, per il trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (IAP) in pazienti adulti di classe funzionale (Functional Class, FC) da II a III dell'OMS. L'Organizzazione mondiale della sanità, già precedentemente trattati per almeno 6 mesi con triplice terapia. Lo annuncia in una nota MSD piegando che sotatercept ha ottenuto dall'Agenzia europea dei medicinali (EMA) la qualifica di Priority Medicine (Prime) e di farmaco orfano per il trattamento della IAP e dall'Aifa, per l'indicazione rimborsata, lo stato di innovatività. Biologico "first in Class" di una innovativa categoria di farmaci, gli inibitori del segnale dell'attivina, sotatercept "la prima terapia a intervenire direttamente sui meccanismi biologici alla base della malattia, cambiandone il decorso".

La decisione dell'Aifa è approvata dal Cda il 15 dicembre 2025 e per cui si attende la pubblicazione della determina di rimborsabilità in Gazzetta Ufficiale che renderà attiva tale decisione. Segue l'approvazione della Commissione europea dell'agosto 2024 che è stata supportata dallo studio di Fase 3 Stellar. Nel trial, sotatercept ha dimostrato benefici clinici su diversi endpoint, tra cui il miglioramento del test del cammino in 6 minuti (6Mwd) di 41 metri e la riduzione dell'84% del peggioramento clinico rispetto alla terapia standard.

L'ipertensione arteriosa polmonare è una patologia rara, progressiva e gravemente invalidante, caratterizzata dall'aumento della pressione nelle arterie polmonari, con un importante sovraccarico per il cuore destro. In Italia si riferisce la farmaceutica si stima che circa 3.500 persone convivano con la IAP, prevalentemente donne, con una diagnosi che arriva spesso in ritardo a causa dei sintomi iniziali, come dispnea e affaticamento, che possono essere simili a quelli di altre malattie cardiache o polmonari. Il rimodellamento vascolare polmonare e le compromissioni funzionali sono generalmente già avanzati al momento della diagnosi rendendo il trattamento terapeutico particolarmente impegnativo per questa condizione. Le terapie oggi disponibili possono migliorare i sintomi e la capacità funzionale, ma non agiscono direttamente sul rimodellamento vascolare o ventricolare destro. Pertanto, vi è un urgente bisogno di terapie che mirino al rimodellamento cardiopolmonare per invertire la progressione della IAP e migliorare i risultati. Grazie al suo meccanismo d'azione innovativo, sotatercept interviene sul disequilibrio tra segnali pro-proliferativi e

anti-proliferativi responsabili del rimodellamento patologico delle arterie polmonari. La terapia Ã¨ somministrata per via sottocutanea ogni 3 settimane e, dopo adeguata formazione, puÃ² essere gestita anche a domicilio dal paziente o dal caregiver.

Sotatercept rappresenta un cambio di paradigma nel trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare afferma Nazzareno GaliÃ², professore ordinario di Cardiologia, direttore Uoc di Cardiologia, policlinico di S. Orsola, Bologna. A differenza dei farmaci attualmente disponibili che modulano le vie metaboliche coinvolte nel controllo della funzione endoteliale (vie di monossido di azoto, endotelina e prostaciclina) questo nuovo farmaco interferisce direttamente con i processi di proliferazione cellulare che sono alla base del rimodellamento vascolare ostruttivo responsabile dell'aumento delle resistenze vascolari e della pressione polmonare. Agendo come ligand trap, sotatercept sequestra i ligandi della superfamiglia Tgf-Î², ripristinando l'equilibrio tra pathway pro-proliferativa e antiproliferativa. Grazie a questo meccanismo innovativo, il farmaco Ã¨ stato in grado di determinare una significativa riduzione delle resistenze arteriose polmonari e anche un significativo miglioramento della capacitÃ di esercizio e della morbi-mortalitÃ dei pazienti affetti da ipertensione arteriosa polmonare.

Altri studi, oltre a Stellar, hanno dimostrato la sicurezza e l'efficacia di sotatercept. Nello studio Zenith informa la nota in pazienti adulti ad alto rischio, ha determinato una riduzione del 76% rispetto alla terapia standard dell'endpoint composito comprendente morte, trapianto polmonare o ricovero per peggioramento di Iap. Lo studio Ã¨ stato interrotto in maniera anticipata per eccesso di beneficio clinico rispetto alla terapia convenzionale. Altri studi hanno dimostrato l'efficacia e la sicurezza del farmaco anche rispetto ad altri fenotipi di pazienti. A tale proposito, Carmine Dario Vizza, professore ordinario di Cardiologia, direttore della scuola di specializzazione in malattie cardiovascolari dell'UniversitÃ Sapienza di Roma, direttore ff Uoc Malattie cardiovascolari dell'Aou Policlinico Umberto I di Roma, osserva che i risultati degli studi clinici e l'esperienza degli ultimi mesi rafforzano la mia convinzione che sotatercept rappresenterÃ un cambiamento radicale nel trattamento dei pazienti con ipertensione Arteriosa Polmonare, sia per i miglioramenti clinici ed emodinamici che per la gestione della terapia.

A commentare il valore del trattamento anche Michele D'Alto, responsabile del dipartimento di Cardiologia, ospedale dei Colli, Napoli: Dalla mia esperienza diretta con l'utilizzo di sotatercept posso dire che il profilo di sicurezza e la tollerabilitÃ del farmaco sono molto elevate. Gli effetti collaterali piÃ¹ comuni sono lievi, in genere autolimitanti e non impediscono la prosecuzione della terapia.

L'ipap Ã¨ una malattia invalidante per i pazienti, che limita pesantemente le loro attivitÃ quotidiane. L'impatto sulla qualitÃ di vita della patologia Ã¨ profondo e la prognosi resta severa, con una sopravvivenza a 5 anni del 61%. I miglioramenti che avvengono nel polmone e nel cuore con sotatercept sono tali da permettere ai pazienti di svolgere piÃ¹ facilmente, piÃ¹ serenamente e con maggiore autonomia tutte le attivitÃ quotidiane, quindi anche sollevando familiari e caregiver dalla necessitÃ di fornire aiuto. Tutto ciÃ², in pratica, vuol dire vivere meglio la propria vita, magari evitare un trapianto di polmone e vivere piÃ¹ a lungo, aggiunge Stefano Ghio, presidente della Rete italiana di ipertensione polmonare (Iphnet) e responsabile dell'UnitÃ Scompenso, cardiomiopatie ed ipertensione polmonare della divisione di Cardiologia, Irccs Policlinico S. Matteo, Pavia.

L'accesso a sotatercept in regime di rimborsabilità è quindi un punto di svolta per la gestione dell'ipertensione arteriosa polmonare in Italia, offrendo una nuova speranza ai pazienti e alle loro famiglie, rafforzando l'importanza di una diagnosi e di un trattamento sempre più precoci.

L'approvazione di Aifa del nostro farmaco sotatercept rappresenta una straordinaria opportunità a beneficio della comunità scientifica e delle persone che convivono con una patologia rara e invalidante come l'ipertensione arteriosa polmonare sottolinea Nicoletta Luppi, presidente e amministratrice delegata di Msd Italia. Consapevoli del potenziale di sotatercept e del grande bisogno clinico insoddisfatto in questa patologia, come Msd da Maggio 2024 abbiamo già reso disponibile il nostro farmaco per uso compassionevole per i pazienti che ne hanno più bisogno. Oggi, ci riempie di orgoglio pensare che nel nostro Paese le persone che convivono con questa malattia rara abbiano finalmente a disposizione una nuova, concreta ed efficace opzione terapeutica, perché premia i nostri costanti sforzi nella ricerca all'avanguardia che si traducono in benefici tangibili, in grado di fare la differenza nella vita delle persone. Ulteriore motivo di orgoglio prosegue il riconoscimento da parte di Aifa dello stato di innovatività di sotatercept. Grazie al suo meccanismo d'azione innovativo, infatti, il nostro farmaco può davvero segnare una nuova era nel paradigma di cura dell'ipertensione arteriosa polmonare. Un riconoscimento che premia il forte orientamento all'innovazione di alto valore perseguito da sempre dalla nostra azienda in tutte le aree in cui opera, dalla prevenzione alla cura, inclusa quella delle malattie rare, dove l'urgenza di nuove e innovative terapie è ancora più forte. Oggi conclude viviamo un momento epocale, che significa non solo più vita, ma anche vita migliore per le persone che convivono con l'ipertensione arteriosa polmonare, per dare più respiro alla vita.

•

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Gennaio 27, 2026

Autore

redazione