Lal-D, Bardoscia (Alexion): â??10 anni di ricerca per confermare efficacia sebelipaseâ?•

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? â??Alexion Ã¨ unâ??azienda pioniera nelle malattie rare da oltre trentâ??anni. Lâ??impegno non Ã¨ soltanto di ricerca, non Ã¨ solo portare delle soluzioni terapeutiche, cosa che stiamo facendo in maniera concreta da sempre, ma Ã¨ anche ascolto della comunitÃ , delle persone che vivono con una malattia rara e portare soluzioni innovative che vanno oltre il valore del farmaco. Nellâ??ambito di lipasi acida lisosomiale, una malattia ultra rara, oggi Ã¨ una data importante perchÃ© portiamo la disponibilitÃ del farmaco per le persone che ne hanno necessitÃ , ma non ci fermiamo qui: oggi Ã¨ soltanto lâ??ultimo tassello di un percorsoâ?•. Lo ha detto Luca Bardoscia, direttore medico Alexion AstraZeneca Rare Disease, oggi a Milano allâ??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 etÃ affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (Lal-D).

â??Il percorso â?? ha ricordato Bardoscia â?? nasce piÃ¹ di 10 anni fa, periodo in cui siamo stati in grado di lanciare un registro di malattie che ci ha dato la possibilitÃ di raccogliere dati per comprendere meglio questa patologia ultra rara in un contesto internazionale, ma con la presenza di alcuni centri italiani. Siamo riusciti a raccogliere elementi di efficacia a lungo termine della nostra soluzione terapeutica per poter dare piÃ¹ concretezza e piÃ¹ soliditÃ alle evidenze scientifiche a nostra disposizioneâ?•. Quanto al lavoro e al supporto da parte di Alexion nei confronti di associazioni pazienti e comunitÃ scientifiche, Barsoscia ha sottolineato che â??lâ??ascolto Ã¨ sicuramente una parte molto importante, comincia tutto da lÃ¬ nel caso di malattie ultra rare. Noi siamo solo un tassello del sistema che ruota intorno a una persona che vive con patologie simili, e in particolare nel deficit di lipasi acida lisosomiale lâ??interlocuzione con le associazioni dei pazienti e con le societÃ scientifiche Ã¨ ancora piÃ¹ importante. Essere in grado di riuscire a cogliere quelle che sono le peculiaritÃ della patologia e riuscire ad incastrare allâ??interno di un percorso di valore che va oltre la soluzione terapeutica Ã¨ fondamentale. In questâ??ambito, tutto quello che ruota intorno alla awareness di una malattia rara, cosÃ¬ come la conoscenza da parte del mondo clinico nel riconoscimento e nel porre la diagnosi differenziale di questa malattia, Ã¨ essenziale perchÃ© ridurre il ritardo diagnostico, o la diagnosi errata, significa miglioramento della qualitÃ della vita del paziente, del contesto sociale che gli ruota

intorno a 360 gradi e degli outcome clinici che lo stesso paziente si aspettaâ?•.

â??Oggi rendiamo concretamente disponibile un servizio di SpeedRare che, attraverso la metodica hub-spoke, mette a disposizione un centro di rilevanza nazionale centralizzato nella conferma del sospetto diagnostico tramite la ricezione di campioni di sangue raccolti grazie ad un kit fornito dal servizio stesso, con una risposta al sospetto diagnostico entro 20 giorni dalla ricezione del campione. Questo Ã¨ un passo concreto per ridurre il ritardo diagnostico ed avere un impatto diretto sulla vita delle persone che vivono con questa patologiaâ?•, ha concluso.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

default watermark

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Ottobre 15, 2026
Autore
redazione