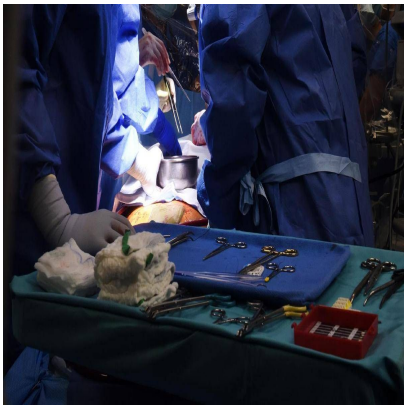

Malattia cronica da trapianto contro lâ??ospite, via libera Ue a belumosudil ï»¿

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? La Commissione europea ha concesso lâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio condizionata per belumosudil come trattamento della malattia cronica da trapianto contro lâ??ospite (cGvhd) in pazienti adulti e pediatrici di etÃ pari o superiore a 12 anni con un peso corporeo di almeno 40 kg. Il farmaco Ã¨ indicato quando le altre opzioni terapeutiche forniscono un beneficio clinico limitato, non risultano adeguate o sono state esaurite. Lo annuncia Sanofi in una nota, precisando che lâ??Aic condizionata Ã¨ subordinata al completamento di uno studio controllato randomizzato e confermativo. Il via libera Ue segue il parere positivo del Comitato per i medicinali ad uso umano (Chmp) dellâ??Agenzia europea dei medicinali (Ema), pubblicato il 30 gennaio 2026.

â??La Gvhd cronica Ã¨ una condizione grave e potenzialmente fatale che comporta un profondo impatto fisico ed emotivo a una popolazione rilevante di pazienti dopo il trapianto di cellule staminali ematopoietiche allogeniche â?? afferma Mohamad Mohty, professore di Ematologia e Head of the Haematology and Cellular Therapy Department allâ??HÃ´pital Saint-Antoine e Sorbonne University, Parigi â?? In tutta Europa, molti pazienti continuano ad affrontare sfide significative nella gestione di questa malattia, soprattutto quando le terapie esistenti non offrono un beneficio adeguato. Questa approvazione rappresenta un importante traguardo, offrendo una nuova opzione terapeutica che ha il potenziale di migliorare significativamente la vita dei pazientiâ?•. Dichiara Olivier Charmeil, Interim Ceo & Executive Vice President, General Medicines, Sanofi: â??Quasi 1 paziente su 2 con Gvhd cronica necessita di un trattamento di terza linea, eppure le opzioni terapeutiche disponibili per i pazienti in Europa in questa fase avanzata della malattia sono ancora limitate. Ci impegniamo con continuitÃ a supportare i pazienti con Gvhd cronica e i loro caregiver e siamo lieti di offrire questa nuova opzione terapeutica ai pazienti che vivono con questa condizione debilitante e a lungo termineâ?•.

Lâ??approvazione si basa sui risultati di sicurezza ed efficacia di diversi studi clinici e su dati di mondo reale, riporta la nota. Questi includono lo studio randomizzato e multicentrico di fase 2 ROCKstar (studio clinico NCT03640481), che ha dimostrato risposte clinicamente significative e durature con belumosudil per pazienti che vivono con Gvhd cronica dopo trapianto di cellule staminali e almeno due linee precedenti di terapia sistemica. Il trattamento Ã¨ stato generalmente ben tollerato. Sotto lâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio condizionata, Sanofi condurrÃ un nuovo studio confermativo, controllato e randomizzato. Nel 2019 il medicinale Ã¨ stato designato come â??farmaco

EI SRL - P.IVA IT16017671005

orfanoâ?? (usato nelle malattie rare) per il trattamento della malattia cronica da trapianto contro ospite. A seguito di questa Aic condizionata, il Chmp dellâ??Ema ha anche formalmente adottato un parere sul mantenimento dello status di designazione di farmaco orfano per belumosudil. Oltre allâ??Ue, belumosudil Ã¨ approvato in 20 Paesi, tra cui Stati Uniti, Regno Unito e Canada, per il trattamento di pazienti di etÃ pari o superiore a 12 anni con Gvhd cronica dopo fallimento di almeno due linee precedenti di terapia sistemica, e in Cina dopo il fallimento di una linea precedente di terapia sistemica. Da allora, piÃ¹ di 20mila pazienti affetti da Gvhd cronica sono stati trattati con belumosudil dalla sua prima approvazione negli Usa nel luglio 2021.

Belumosudil â?? dettaglia la nota â?? Ã¨ il primo inibitore selettivo di Rock2 (proteina chinasi-2 associata a Rho contenente un dominio coiled-coil) (Rock2i) di Sanofi. Ha dimostrato di apportare beneficio in diverse tipologie di pazienti affetti da malattia cronica del trapianto contro lâ??ospite dopo il fallimento di almeno due linee di terapia precedenti. Sanofi Ã¨ impegnata a studiare la sicurezza e lâ??efficacia di belumosudil in altre fasce di etÃ e indicazioni, anche attraverso studi in corso in pazienti pediatrici a partire da 1 anno di etÃ con cGvhd che sono stati trattati con almeno due precedenti linee di terapia sistemica e in pazienti con disfunzione cronica da allotrapianto polmonare. Queste indicazioni aggiuntive sono attualmente in fase di studio e non sono state approvate dalle autoritÃ regolatorie.

default watermark

ROCKstar Ã¨ uno studio registrativo di fase 2, in aperto, non controllato, randomizzato e multicentrico che ha valutato lâ??efficacia e la sicurezza di belumosudil in pazienti con malattia del trapianto contro lâ??ospite cronica che avevano ricevuto da due a 5 linee precedenti di terapia sistemica e necessitavano di terapia aggiuntiva. Unâ??analisi di follow-up di 3 anni, in aperto, dello studio ROCKstar ha valutato lâ??efficacia a lungo termine di belumosudil. Il trattamento consisteva in belumosudil 200 mg ed Ã¨ stato somministrato continuativamente fino alla progressione clinicamente significativa della cGvhd o al manifestarsi di una tossicitÃ inaccettabile. Lâ??endpoint primario era il tasso di risposta complessiva (Overall response rate, Orr) a qualsiasi valutazione. I risultati dello studio hanno dimostrato un Orr migliore clinicamente significativo e statisticamente significativo del 74% in trattamento con belumosudil (n=77, Ic 95%, 63-83). Le reazioni avverse piÃ¹ comuni sono state affaticamento (46%), diarrea (35%), nausea (35%), dispnea (32%), tosse (30%) e infezioni delle vie respiratorie superiori (26%).

La malattia cronica del trapianto contro lâ??ospite Ã¨ una complicanza potenzialmente letale che puÃ² verificarsi dopo un trapianto di cellule staminali (o trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche) in cui le cellule del donatore (graft) attaccano le cellule dellâ??ospite, portando a infiammazione e fibrosi (cicatrizzazione o ispessimento) che possono danneggiare molteplici tessuti e organi. La cGvhd compromette gravemente la vita e interessa fino al 50% dei pazienti sottoposti a trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche. La cGvhd Ã¨ considerata una delle principali cause di morbilitÃ e mortalitÃ tardiva non correlata a recidiva dopo il trapianto di cellule staminali. Le conseguenze sono di vasta portata, sia in termini di onere che puÃ² gravare sul benessere fisico ed emotivo dellâ??individuo, sia in termini di piÃ¹ ampio impatto socioeconomico.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

EI SRL - P.IVA IT16017671005

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Aprile 1, 2026
Autore
redazione

default watermark