



Malattie rare: Marchesi (Ipsen), «sfida» portare innovazione a pazienti con Sindrome di Alagille»

Descrizione

(Adnkronos) Ipsen concentra il proprio impegno nelle malattie rare, ma anche in oncologia e neuroscienze, con un obiettivo comune: offrire ai pazienti soluzioni terapeutiche innovative in aree ad alta complessità e con bisogni clinici ancora in gran parte insoddisfatti. Proprio nelle malattie rare, tuttavia, il percorso dell'innovazione presenta sfide aggiuntive. Cos'è all'Adnkronos Chiara Marchesi, Medical & Regulatory Affairs Director di Ipsen Italia

È fondamentale, innanzitutto, mantenere un dialogo costante con esperti, società scientifiche, associazioni di pazienti e istituzioni. Il percorso di cura deve essere non solo efficace, ma anche personalizzato e sostenibile. Dal punto di vista scientifico, una delle principali sfide è arrivare a una diagnosi il più possibile precoce. La conoscenza di molte patologie rare, infatti, è ancora limitata a pochi centri e a un numero ristretto di specialisti. Un ulteriore ostacolo riguarda la possibilità di produrre dati scientifici solidi, considerando che le popolazioni di pazienti sono spesso numericamente ridotte ed eterogenee. In questo contesto, accanto ai dati provenienti dagli studi registrativi, assumono un ruolo sempre più rilevante le evidenze di real world, fondamentali per comprendere l'impatto reale delle terapie.

Il paziente va considerato a 360 gradi. Molte malattie rare coinvolgono anche l'età pediatrica e sono associate a bisogni complessi. sottolinea Marchesi. Per questo l'ascolto delle associazioni di pazienti, come ad esempio Alagille Italia, è essenziale per sviluppare soluzioni realmente rispondenti alle esigenze quotidiane delle persone e delle famiglie.

Un altro tema cruciale è quello dell'accesso alle cure. L'innovazione deve arrivare concretamente ai pazienti, ma i percorsi possono essere lunghi e diversi da regione a regione. Il confronto continuo con le istituzioni è quindi indispensabile per garantire un accesso il più possibile equo e tempestivo.

Ipsoen evidenzia Marchesi rappresenta già un punto di riferimento nell'ambito delle malattie colestatiche epatiche rare, un gruppo eterogeneo di patologie legate a un'alterazione cronica del flusso biliare di origine genetica o autoimmune. Sono già disponibili opzioni terapeutiche, ad esempio nella sindrome di Alagille, nella colestasi intraepatica familiare progressiva, patologia genetica pediatrica, e nella colangite biliare primitiva, di origine autoimmune. La pipeline di ricerca resta fortemente focalizzata su questo ambito, con altre due patologie attualmente in studio: l'atresia biliare, per cui è in corso uno studio di fase 3, e la colangite sclerosante primaria, per la quale si è recentemente concluso uno studio di fase 2 con risultati positivi. La qualità di vita dei pazienti e delle loro famiglie è sempre al centro delle attività, aggiunge. Un esempio concreto è un servizio sviluppato da Ipsoen che prevede la consegna domiciliare del farmaco, insieme a materiali informativi dedicati, per rendere il percorso di cura più semplice e vicino alle esigenze quotidiane.

Infine, il tema della sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale è oggi più che mai centrale. Ipsoen investe in ricerca con l'obiettivo di portare nuove molecole o nuove indicazioni terapeutiche, e considera essenziale un confronto aperto con le istituzioni. Al centro del dibattito va posto il valore dell'innovazione, non solo per il beneficio individuale in termini di benessere e qualità di vita, ma anche per l'impatto positivo che può generare sull'intera società, conclude.

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Febbraio 5, 2026

Autore

redazione