

# Malattie rare, miastenia gravis generalizzata: ok Ue a trattamento gefurulimab

## Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Alexion, AstraZeneca Rare Disease, ha annunciato lâ??approvazione nellâ??Unione europea di gefurulimab come terapia aggiuntiva allo standard di cura per il trattamento della miastenia gravis generalizzata (gMG) negli adulti positivi agli anticorpi anti-recettore dellâ??acetilcolina (AChR). Gefurulimab â?? informa una nota â?? Ã¨ un inibitore di C5 costituito da un nanocorpo a doppio legame, e consente lâ??autosomministrazione sottocutanea una volta alla settimana tramite autoiniettore. Lâ??approvazione da parte della Commissione europea â?? si legge â?? segue il parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) dellâ??Agenzia europea per i medicinali (Ema) ed Ã¨ basata sui risultati positivi dello studio registrativo di fase 3 Prevail.

I dati dello studio hanno mostrato che gefurulimab ha raggiunto lâ??endpoint primario, dimostrando un miglioramento rispetto al basale del punteggio totale del Myasthenia gravis activities of daily living (Mg-Adl) alla settimana 26 rispetto al placebo. Un miglioramento clinicamente significativo Ã¨ stato osservato giÃ  dalla prima settimana e si Ã¨ mantenuto fino alla settimana 26. La gMG Ã¨ una malattia autoimmune rara caratterizzata da una riduzione della funzionalitÃ  muscolare e da una severa debolezza muscolare. Si stima â?? dettaglia la nota â?? che circa 82.500 persone nei cinque principali Paesi europei (Germania, Francia, Regno Unito, Italia e Spagna) convivano con una diagnosi di gMG e che circa 66.000 siano positive agli anticorpi anti-AChR.

â??La gestione clinica della miastenia gravis generalizzata Ã¨ complessa: i sintomi, la gravitÃ  e il decorso della malattia possono variare notevolmente da paziente a paziente, e un controllo precoce e duraturo della patologia Ã¨ fondamentale per migliorare gli esiti clinici â?? ha dichiarato Tobias Ruck, direttore Dipartimento di Neurologia al BG University Hospital Bergmannsheil Bochum della Ruhr-University Bochum e sperimentatore dello studio â?? Lo studio di fase 3 Prevail ha dimostrato la capacitÃ  di gefurulimab di garantire un controllo rapido e duraturo della malattia, osservabile giÃ  dalla prima settimana e mantenuto fino a un anno, con il vantaggio aggiuntivo dellâ??autosomministrazione sottocutanea settimanale. Questa approvazione rappresenta una nuova importante opzione terapeutica per medici e pazienti nellâ??Ue, offrendo un approccio efficace e pratico alla gestione di questa grave malattia rara cronicaâ?•.

â??La miastenia gravis generalizzata Ã¨ una malattia caratterizzata da manifestazioni peculiari, incertezza, limitazioni e spesso invisibilitÃ  dei sintomi â?? ha sottolineato Lutgarde Allard, presidente della European Myasthenia Gravis Association (EuMGFA) -. Per le persone che convivono con questa patologia rara in tutta Europa, lâ??approvazione di questo nuovo farmaco significa maggiori possibilitÃ  terapeutiche, piÃ¹ praticitÃ  e la prospettiva di recuperare indipendenza nella vita quotidiana. Questa notizia rappresenta molto piÃ¹ di un progresso scientifico: offre speranza e dimostra che i bisogni della nostra comunitÃ  vengono ascoltatiâ?•.

â??Lâ??approvazione di gefurulimab in Europa rappresenta un importante traguardo per la comunitÃ  dei pazienti con gMG, introducendo una terapia che combina lâ??efficacia e la sicurezza consolidate dellâ??inibizione di C5 con la flessibilitÃ  di una somministrazione sottocutanea settimanale autosomministrata â?? ha commentato Marc Dunoyer, Chief Executive Officer di Alexion -. Questo innovativo nanocorpo a doppio legame testimonia lâ??ereditÃ  pionieristica di Alexion nella scienza del complemento e il costante impegno nello sviluppo di terapie differenziate per le persone affette da malattie rareâ?•.

Gefurulimab â?? conclude la nota â?? Ã¨ stato generalmente ben tollerato e il suo profilo di sicurezza Ã¨ risultato coerente con quello osservato negli studi precedenti sugli inibitori di C5 eculizumab e ravulizumab nella gMG. I dati dello studio Prevail sono stati presentati durante la sessione scientifica della Myasthenia Gravis Foundation of America nellâ??ambito del congresso annuale 2025 della American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine (Aanem) e pubblicati sulla rivista Jama Neurology. Gefurulimab Ã¨ approvato negli Stati Uniti, in Giappone e in altri Paesi per il trattamento di specifiche popolazioni adulte affette da gMG. Le richieste di autorizzazione basate sui risultati dello studio Prevail sono attualmente in fase di valutazione in Cina e in altri Paesi.

default watermark

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

**Categoria**

1. Comunicati

**Tag**

1. Ultimora

**Data di creazione**
Novembre 19, 2026
**Autore**
redazione