



Mielofibrosi, pazienti: Con farmaco orale per anemia torna a scorrere la vita

Descrizione

(Adnkronos) Riesco di nuovo a tenere in braccio mia nipote. Prima non ce la facevo. Cos'è Barbara Binoletto, romana e da poco in pensione, con una diagnosi di mielofibrosi nel 2019, racconta come ha cambiato la vita da quando ha iniziato la terapia con momelotinib. Nel 2023, con l'evoluzione della malattia, a scandire il suo tempo sono diventate le trasfusioni: una ogni 15 giorni, per cercare di riportare i livelli di emoglobina almeno in doppia cifra e far fronte cos'è a un'anemia che condizionava pesantemente la sua quotidianità. Non mi reggevo in piedi ricorda Non riuscivo nemmeno rifare il letto o cucinare. La notte avevo un continuo rimbombo in testa, come se il cuore mi battesse proprio là: una sensazione bruttissima che mi impediva anche di riposare bene. Quindici giorni, 2 settimane. Era questo il suo orizzonte di programmazione, anche se da programmare c'era ben poco, visto che non ero più in grado di uscire di casa, dice Barbara sorridendo. Arrivati agli sgoccioli del 2023 ero da poco stata inserita in un protocollo con un farmaco innovativo mi son detta che sarebbe stato bello smetterla con le trasfusioni. Ecco, mi è capitato questo. Speriamo che duri. E questo? momelotinib, inibitore orale di Jak1/Jak2 e del recettore dell'attivina A di tipo 1 (Acvr1) informa Gsk in una nota primo medicinale autorizzato per il trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi.

Il dato interessante che l'esperienza di Barbara è oggi anche quella di Mario, Andrea, Giuseppina e mettete voi i nomi che volete, afferma Elena Rossi, professore associato di Ematologia, università Cattolica del Sacro Cuore di Roma, responsabile del Day Hospital di Ematologia del Policlinico Gemelli, che segue la paziente dall'inizio. Quello che abbiamo raggiunto è una tappa importante sottolinea Circa il 40% dei pazienti con mielofibrosi presenta infatti un'anemia da moderata a grave già al momento della diagnosi, ma quasi tutti la svilupperanno nel corso della malattia. Questa condizione richiede cure di supporto aggiuntive, tra cui appunto le trasfusioni. Con momelotinib siamo riusciti a migliorare i livelli di emoglobina, restituendo loro l'indipendenza, la quotidianità. Ma è una tappa vincente che accogliamo con piacere, consapevoli che la mielofibrosi rimane una malattia grave e che c'è bisogno di proseguire nella ricerca, con soluzioni innovative che coinvolgono lo stesso momelotinib.

La mielofibrosi è un tumore del sangue che colpisce il midollo osseo. Tra le neoplasie mieloproliferative Philadelphia negative, è considerata quella più aggressiva. In Italia ogni anno si stimano circa 900 nuovi casi e l'incidenza maggiore si registra tra i 60 e i 70 anni, età in cui la maggior parte delle persone è ancora professionalmente attiva.

Parliamo di una patologia che può peggiorare più o meno lentamente nell'arco di diversi anni con modalità variabili a seconda del paziente, illustra Francesco Passamonti, direttore della Struttura complessa Ematologia del Policlinico di Milano e professore ordinario di Ematologia all'università degli Studi di Milano. In genere la fase iniziale consiste in un danno alla struttura del midollo osseo. È detta fase precoce, o pre-fibrotica, poiché non è ancora presente la fibrosi del midollo osseo. Nella fase avanzata aumenta la fibrosi midollare con le cellule staminali che migrano dal midollo al sangue periferico e si annidano nella milza, fegato e altri organi. Solitamente, quando la malattia si manifesta, sono già presenti le alterazioni cliniche tipiche quali anemia, ingrossamento della milza e i sintomi sistemici (febbre, sudorazione notturna, calo ponderale). In alcuni casi (circa 10 su 100) la mielofibrosi può evolvere in una patologia più severa: la leucemia mieloide acuta.

Sono ormai tanti i pazienti italiani in cura con momelotinib. L'unica terapia ad oggi potenzialmente in grado di guarire, precisa Passamonti, è il trapianto di midollo osseo, ma è riservato a una piccola percentuale di pazienti, in genere sotto i 70 anni, a causa della complessità e dei rischi ad esso associati. La terapia cardine della mielofibrosi è rappresentata dai Jak inibitori. Rispetto agli altri Jak inibitori già utilizzati, momelotinib, somministrato oralmente una volta al giorno, ha dimostrato di avere un impatto favorevole sull'anemia, oltre che su splenomegalia e sintomi. Momelotinib riduce in modo significativo il carico trasfusionale, risolvendo un grande problema clinico. I nuovi dati presentati all'ultimo congresso europeo di ematologia a Milano rimarca Rossi hanno evidenziato l'importanza di intervenire precocemente sull'anemia per massimizzare i benefici clinici. In particolare, il raggiungimento di livelli di emoglobina superiori a 10 g/dL è stato associato a una maggiore sopravvivenza globale. Gli studi confermano inoltre un beneficio sulla prognosi del paziente, per quelli che raggiungono un'indipendenza dalle trasfusioni associata o meno al controllo della splenomegalia.

La storia di Barbara commenta Elisabetta Campagnoli, direttore medico oncoematologia di Gsk, rappresenta ciò per cui lavoriamo ogni giorno: riportare autonomia, dignità e qualità di vita alle persone colpite da malattie ematologiche complesse. In Gsk il nostro impegno non è solo sviluppare farmaci efficaci, ma farlo con un approccio centrato sul paziente, che tenga insieme evidenza scientifica, sicurezza e impatto concreto sulla vita quotidiana. Momelotinib è un esempio tangibile di questo approccio. Per questo continueremo a investire nella ricerca e nelle collaborazioni con centri clinici e investigatori italiani per approfondire i benefici per i pazienti, ottimizzare i percorsi terapeutici e garantire accesso alle soluzioni più innovative. La nostra priorità rimane la persona: ogni miglioramento nei parametri clinici deve tradursi in un miglioramento della vita di chi convive con la malattia.

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Gennaio 28, 2026

Autore

redazione

default watermark