

Neurofibromatosi tipo 1, rimborso per selumetinib anche in adulti

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Lâ??Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilitÃ in Italia di selumetinib, un inibitore orale e selettivo di Mek, per il trattamento in monoterapia dei neurofibromi plessiformi (Pn) inoperabili, sintomatici nei pazienti adulti con neurofibromatosi di tipo 1 (Nf1). Lo annuncia, in una nota, Alexion, AstraZeneca Rare Disease, informando che il via libera di Aifa segue lâ??approvazione dellâ??estensione di indicazione del farmaco da parte della Commissione europea, basata sui risultati dello studio Komet, un ampio studio internazionale di fase 3 controllato con placebo che ha arruolato 145 pazienti adulti provenienti da 13 diversi Paesi, tra Nord America, Sud America, Europa, Asia e Australia, pubblicato su â??The Lancetâ??. Nellâ??analisi primaria dello studio Komet, selumetinib ha mostrato un tasso di risposta obiettiva (Orr) statisticamente significativo e clinicamente rilevante rispetto al placebo. Il profilo di sicurezza Ã¨ risultato coerente con il profilo di sicurezza giÃ noto e con lâ??utilizzo consolidato nei pazienti pediatrici.

La Nf1 Ã¨ una malattia genetica rara e progressiva solitamente diagnosticata nella prima infanzia, ma che spesso progredisce fino allâ??etÃ adulta e puÃ² colpire tutti gli organi â?? illustra la nota â?? Fino al 50% delle persone affette da Nf1 puÃ² sviluppare un tipo di tumore non maligno chiamato neurofibroma plessiforme che puÃ² colpire il cervello, il midollo spinale e i nervi. I Pn possono comparire nel corso della vita e crescere fino a diventare di grandi dimensioni, causando dolore, deformitÃ e debolezza muscolare, oltre ad altri sintomi debilitanti.

â??Lâ??approvazione di selumetinib per il trattamento degli adulti con neurofibromatosi di tipo 1 e neurofibromi plessiformi sintomatici ed inoperabili rappresenta un importante passo avanti, estendendo anche a questa popolazione di pazienti una possibilitÃ terapeutica finora disponibile solo per la popolazione pediatricaâ?•, spiega Chiara Leoni, responsabile della Uos Malattie rare pediatriche e Terapie innovative della Fondazione policlinico universitario Agostino Gemelli di Roma. â??I dati confermano il valore di selumetinib lungo tutto il percorso di cura in termini di miglioramento clinico, radiologico e globale di qualitÃ di vita, offrendo una nuova opportunitÃ terapeutica sia per pazienti che ricevono una diagnosi in etÃ adulta sia per coloro che affrontano la transizione dallâ??etÃ pediatricaâ?•.

Ã? positivo anche il commento congiunto delle associazioni che in Italia rappresentano anche i pazienti adulti affetti da neurofibromatosi â?? Ananas Aps; Associazione nazionale aiuto per la neurofibromatosi amicizia e solidarietÃ : Anfâ??Associazione neuro fibromatosi e Linfa-Lottiamo insieme contro le neurofibromatosi Aps. â??La disponibilitÃ di selumetinib anche per gli adulti con neurofibromi plessiformi rappresenta un traguardo significativo per lâ??intera comunitÃ Nf1 â?? affermano â?? Questo risultato offre nuove prospettive alle persone che convivono con la malattia e alle loro famiglie, ed Ã¨ il riconoscimento di un bisogno di cura rimasto a lungo senza risposta. Ã? anche la dimostrazione di ciÃ² che puÃ² essere raggiunto quando associazioni, clinici, istituzioni e industria lavorano insieme con un obiettivo comune: migliorare la vita delle persone con Nf1 e continuare a far progredire le opportunitÃ di curaâ?•.

â??Lâ??estensione dellâ??indicazione di selumetinib per il trattamento dei neurofibromi plessiformi negli adulti con Nf1 segna un avanzamento significativo per questi pazienti che finora disponevano di opzioni terapeutiche limitate, contribuendo inoltre a dare continuitÃ delle cure nel delicato passaggio dallâ??adolescenza allâ??etÃ adulta â?? commenta Anna Chiara Rossi, Vp e General Manager di Alexion, AstraZeneca Rare Disease â?? Questo risultato conferma il costante impegno di Alexion nellâ??ambito delle malattie rare e nella ricerca di soluzioni in grado di rispondere a bisogni ancora insoddisfatti, con lâ??obiettivo di migliorare concretamente la presa in carico delle persone che convivono con queste patologieâ?•. Selumetinib â?? conclude la nota â?? Ã¨ stato approvato negli Stati Uniti, in Europa, in Giappone e in altri Paesi per il trattamento di pazienti adulti con Nf1 affetti da Pn sintomatici e inoperabili, e sono in corso ulteriori revisioni regolatorie.

default watermark

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Novembre 6, 2026
Autore
redazione