

Sindrome di Rett, ok Ema a trattamento sintomi neurocomportamentali

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Il Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) dellâ??Agenzia europea per i medicinali (Ema) ha espresso un parere positivo riguardo alla concessione dellâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio di trofinetide per il trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett, in pazienti adulti e pediatrici di etÃ pari o superiore a 5 anni. Lo annuncia, in una nota, Acadia Pharmaceuticals, sottolineando che, se approvato dalla Commissione europea, trofinetide sarebbe il primo trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett nellâ??Unione europea (Ue). â??Lâ??opinione positiva del Chmp per trofinetide â?? commenta Catherine Owen Adams Ceo di Acadia â?? Ã¨ un importante traguardo nella nostra missione di portare questa terapia innovativa alle persone che vivono con la sindrome di Rett in tutta Europa. Per troppo tempo, le famiglie che vivono con la sindrome di Rett non hanno avuto a disposizione alcuna terapia approvata specificamente per questa condizione devastante. Siamo determinati a fare la differenza nella vita dei pazienti, dei caregiver e di tutta la comunitÃ Rett, dando risposte a bisogni medici significativi e ancora insoddisfatti e accogliamo con grande soddisfazione il risultato di questo processo di riesameâ?•.

La raccomandazione del Chmp si basa principalmente sui risultati dello studio di fase 3 Lavender, che ha dimostrato miglioramenti statisticamente e clinicamente significativi nelle caratteristiche principali della sindrome di Rett, misurati mediante il questionario sul comportamento della sindrome di Rett (Rsbq) e la scala dellâ??impressione clinica globale di miglioramento (Cgi-I). Questi risultati â?? riferisce la farmaceutica â?? indicano che il trattamento con trofinetide â?? un analogo sintetico del tripeptide N-terminale del fattore 1 di crescita insulino-simile â?? puÃ² agire su alcuni degli aspetti piÃ¹ gravosi della sindrome di Rett, che incidono negativamente sulla qualitÃ della vita dei pazienti e dei loro caregiver. â??Per decenni â?? spiega Pedro Rocha, presidente Rett Syndrome Europe â?? le famiglie europee colpite dalla sindrome di Rett non hanno avuto a disposizione alcuna opzione di trattamento approvata, anche se questa condizione invalidante causa una grave compromissione in diverse aree e colpisce quasi ogni aspetto della vita dei pazienti. Lâ??opinione positiva del Chmp rappresenta una speranza per le migliaia di persone che vivono con questa condizione devastante, le loro famiglie e i loro caregiverâ?•. In seguito alla raccomandazione del Chmp, la Commissione europea esaminerÃ il parere e si prevede che emetterÃ una decisione finale nei prossimi mesi. Lâ??approvazione di trofinetide sarebbe valida in tutti i 27 stati membri dellâ??Ue, oltre che in Islanda, Liechtenstein e Norvegia.

La sindrome di Rett â?? si legge nella nota â?? Ã¨ un raro disturbo neuroevolutivo complesso che si manifesta in circa una su 10-15mila nate di sesso femminile in tutto il mondo. La malattia Ã¨ solitamente causata da una mutazione genetica sul gene MeCp2. Una bambina affetta da sindrome di Rett ha generalmente uno sviluppo apparentemente normale fino a 6-18 mesi. In seguito, molte delle sue capacitÃ sembrano rallentare o stagnare, quindi regredire. Le manifestazioni della patologia possono anche includere lo sviluppo di stereotipie delle mani, come torcere e battere le mani, e anomalie dellâ??andatura. La maggior parte delle persone che convivono con la sindrome di Rett solitamente vive fino allâ??etÃ adulta e richiede unâ??intensa assistenza continuativa.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

default watermark

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Giugno 30, 2026
Autore
redazione