



Sindrome di Rett, ok in Europa a trattamento per sintomi neurocomportamentali

Descrizione

(Adnkronos) La Commissione europea (Ce) ha concesso l'autorizzazione all'immissione in commercio per trofinetide nel trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett in pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a cinque anni. Il farmaco è il primo e unico trattamento approvato per questa indicazione nell'Unione Europea (Ue). Lo annuncia, in una nota Acadia Pharmaceuticals. La sindrome di Rett è caratterizzata da un quadro neurocomportamentale complesso che include una fase regressiva, contraddistinta dalla rapida perdita delle competenze linguistiche e comunicative, frequentemente associata a disturbi del sonno, ansia e altre alterazioni comportamentali che compromettono significativamente la qualità di vita delle pazienti e delle loro famiglie, spiega commenta Aglaia Vignoli, professore associato di Neuropsichiatria infantile dell'Università Statale di Milano, direttore del dipartimento di Neuropsichiatria infantile Asst Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano. Con la progressione della malattia, il coinvolgimento si estende ad altri aspetti, in particolare a quello motorio, determinando una disabilità complessa che interessa pressoché ogni aspetto della vita quotidiana. Per questo siamo entusiasti del passo avanti compiuto a livello europeo, per dare ai pazienti, alle loro famiglie e a tutta la comunità clinica, una nuova opportunità per contrastare i sintomi neurocomportamentali della malattia.

L'approvazione di trofinetide segna un importante passo avanti nella nostra missione di fornire un trattamento innovativo alle migliaia di persone che convivono con la sindrome di Rett nell'Ue e che da tempo vivono con ampi bisogni medici insoddisfatti, afferma Catherine Owen Adams, Ceo di Acadia Pharmaceuticals. Siamo entusiasti di questo traguardo e siamo impegnati a collaborare con le autorità regolatorie competenti e con la comunità di clinici e di pazienti europea, per favorire l'accesso tempestivo a questa nuova opportunità terapeutica per i pazienti europei idonei. L'autorizzazione all'immissione in commercio di trofinetide nell'Ue informa la nota 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 i seguenti endpoint co-primari: il Questionario sul comportamento della sindrome di Rett (Rsbc) e la scala dell'impressione clinica globale di miglioramento (Cgi-I).

Questo traguardo storico commenta Pedro Rocha, presidente di Rett Syndrome Europe rappresenta un progresso significativo per i pazienti, i caregiver e la più ampia comunità della

sindrome di Rett in Europa, che da molto tempo Ã¨ in attesa di un'opzione terapeutica incentrata specificamente sui sintomi neurocomportamentali di questo disturbo complesso. Troviamo incoraggiamento in questa approvazione e nutriamo fiducia circa l'impatto positivo che potrebbe avere per le famiglie in Europa affette dalla sindrome di Rett. Con questa approvazione conclude la nota trofinetide, un analogo sintetico del tripeptide N-terminale del fattore 1 di crescita insulino-simile (Igf-1), ha ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio in tutti i 27 Stati membri dell'Ue, nonchÃ© in Islanda, Liechtenstein e Norvegia. Come passo successivo per rendere disponibile trofinetide ai pazienti nell'Ue, Acadia intraprenderÃ i necessari processi approvativi con le autoritÃ competenti.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Settembre 1, 2026

Autore

redazione

default watermark