Dâ??Antiga (Papa Giovanni XXIII): â??Deficit lipasi acida lisosomiale raro ma severoâ?•

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? â??Il deficit di lipasi acida lisosomiale, chiamato piÃ¹ comunemente Lal-D, Ã¨ una malattia genetica che si trasmette come carattere recessivo, ha una prevalenza bassa, ma potenzialmente grave, con due manifestazioni: una estremamente severa alla nascita nel neonato, che senza trattamento Ã¨ rapidamente fatale, e una piÃ¹ tardiva, in etÃ pediatrica o anche adulta. Lal-D Ã¨ una malattia rara con una prevalenza di circa 1 persona su 150mila, riconoscerla Ã¨ molto importante perchÃ© il trattamento puÃ² consentire di rallentare il suo decorso o addirittura risolvere il problema semplicemente evitando la progressione ad una grave malattia del fegatoâ?•. CosÃ¬ Lorenzo Dâ??Antiga, direttore Dipartimento Materno infantile e pediatrico Asst Papa Giovanni XXIII Bergamo, intervenendo oggi a Milano allâ??incontro con la stampa organizzato da Alexion, biofarmaceutica del gruppo AstraZeneca, per il lancio in Italia di sebelipase alfa, terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di pazienti di tutte le etÃ affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale.

â??Mettendo un attimo da parte la forma gravissima neonatale perchÃ© Ã¨ una forma separata che va considerata a sÃ© â?? precisa lo Dâ??Antiga â?? la forma piÃ¹ comune, quella che si presenta in etÃ pediatrica, ha caratteristiche spesso molto lievi da un punto di vista clinico, ovvero un ingrandimento del fegato e della milza, delle transaminasi che possono facilmente trovarsi alterate negli esami del sangue ed anche lâ??aumento del colesterolo. Questa malattia, se non riconosciuta, causa un accumulo di grasso nel fegato, perchÃ© comporta un difetto del metabolismo del colesterolo che si accumula, appunto, nel fegato, e causa una steatosi epatica che poi crea unâ??infiammazione portando a fibrosi e, nel lungo termine, a cirrosiâ?•. Lâ??esperto aggiunge che â??il colesterolo non metabolizzato rimane a livelli elevati nel sangue e causa anche una malattia associata a ipercolesterolemia, quindi aterosclerosi, una malattia coronarica simile alla malattia coronarica che si trova nellâ??ipercolesterolemia piÃ¹ comune con un impatto sulla salute cardiovascolareâ?•.

â??Ã? disponibile un farmaco, una terapia enzimatica, che va a sostituire lâ??assenza dellâ??enzima stesso dovuta a questa malattia. La sebelipase alfa â?? evidenzia Dâ??Antiga â?? Ã¨ un farmaco salvavita nella forma neonatale e pediatrica, nella quale non câ??Ã¨ sopravvivenza senza trattamento, mentre con la terapia lâ??espressione precoce della patologia viene trattata con una sopravvivenza a lungo termine fino ad ora confermata. Il farmaco, da oggi, Ã¨ indicato anche nella presentazione piÃ¹

tardiva, ed Ã¨ in grado di far regredire la steatosi, migliorare lâ??infiammazione, normalizzare le transaminasi e ridurre in modo importante il colesterolo nella maggior parte dei pazienti, adatto in particolar modo a quei pazienti in cui la diagnosi piÃ¹ tardiva Ã¨ associata a segni clinici di progressione severa della malattiaâ?•.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

default watermark

Data di creazione
Ottobre 15, 2026
Autore
redazione