



Giornate internazionali malattie rare di giugno, Ucb rinnova impegno a cure personalizzate

Descrizione

(Adnkronos) Le malattie rare sono accomunate da sfide che vanno oltre la dimensione clinica: diagnosi spesso complesse, bisogni assistenziali articolati, carenza di opzioni terapeutiche e un impatto significativo sulla qualità della vita di pazienti e caregiver. Il mese di giugno, in cui ricorrono alcune importanti giornate internazionali, quali quella dedicata alla Miastenia gravis, all'encefalopatia da deficit di Cdkl5 e alla sindrome di Dravet rappresenta un'occasione per richiamare l'attenzione su queste patologie e sulla necessità di continuare a investire nella ricerca, nell'innovazione e nella consapevolezza. Queste ricorrenze afferma Ucb Pharma in una nota rappresentano un momento significativo per riaffermare il proprio impegno nelle malattie rare, un ambito in cui persistono importanti bisogni clinici e assistenziali ancora insoddisfatti. Le malattie rare al centro dell'attività della farmaceutica comprendono la Sindrome di Dravet, la Sindrome di Lennox-Gastaut, l'encefalopatia da deficit di Cdkl5, la Miastenia gravis e la Tk2d, una malattia mitocondriale ultrarara. Si tratta prevalentemente di patologie neurologiche e immunologiche che richiedono approcci terapeutici complessi, percorsi multidisciplinari e una presa in carico personalizzata lungo tutto il percorso di cura.

Alla base di questo impegno vi è una strategia di innovazione che punta a sviluppare soluzioni terapeutiche sempre più mirate e personalizzate. Attraverso investimenti in ricerca avanzata, medicina di precisione e nuove tecnologie, Ucb si legge nella nota lavora per ampliare la comprensione dei meccanismi biologici alla base delle malattie e trasformare il progresso scientifico in benefici concreti per i pazienti. Un approccio che guarda oltre il controllo dei sintomi, con l'obiettivo di contribuire allo sviluppo di terapie in grado di rispondere ai bisogni ancora insoddisfatti delle persone che convivono con patologie complesse e rare.

Nel caso della Sindrome di Dravet, una grave forma di epilessia a esordio infantile, la farmaceutica ha contribuito a rendere disponibili soluzioni terapeutiche innovative e strumenti di monitoraggio che consentono una valutazione dell'efficacia dei trattamenti nel tempo e nella pratica clinica reale. Una patologia che richiede approcci terapeutici articolati e che può avere un impatto significativo sullo sviluppo e sulla qualità di vita dei pazienti e delle loro famiglie. L'impegno dell'azienda si estende anche al sostegno di progettualità istituzionali finalizzate a migliorare la presa in carico

delle encefalopatie epilettiche e dello sviluppo. • Iniziative che promuovono una programmazione più strutturata dei percorsi di cura, il rafforzamento della continuità assistenziale, il potenziamento dei servizi socioassistenziali e l'utilizzo della telemedicina per favorire una maggiore accessibilità alle cure.

In quest'ottica, Ucb è inoltre impegnata nello sviluppo di nuove opportunità terapeutiche per l'encefalopatia epilettica da deficit di Cdkl5, una malattia rara a esordio neonatale caratterizzata da crisi epilettiche farmacoresistenti e grave compromissione neurologica, per la quale esistono ancora importanti bisogni clinici insoddisfatti. Anche nella Miastenia Gravis, malattia autoimmune rara che può compromettere significativamente la quotidianità delle persone che ne sono affette, l'azienda ha assunto un ruolo di primo piano grazie a un portafoglio terapeutico innovativo e alla promozione di modelli di gestione della patologia sempre più integrati e personalizzati. L'obiettivo è contribuire a una presa in carico che tenga conto non solo degli aspetti clinici, ma anche dell'impatto che la malattia esercita sulla vita personale, familiare e sociale.

In questa prospettiva si inserisce anche il sostegno a iniziative di sensibilizzazione e informazione rivolte alla comunità dei pazienti e all'opinione pubblica. Tra queste, il progetto "Quello che non vedi", promosso da OMaR - Osservatorio malattie rare e presentato il 17 giugno scorso che, attraverso immagini e testimonianze, racconta gli aspetti meno visibili della Miastenia gravis, contribuendo a una maggiore comprensione dell'impatto che la malattia può avere nella vita quotidiana delle persone. Tra le aree di ricerca più avanzate figura inoltre la Tk2d, una patologia mitocondriale ultra-rara dovuta al deficit dell'enzima timidina chinasi 2. La malattia provoca una progressiva compromissione di funzioni vitali come la deambulazione, la respirazione e la deglutizione. La farmaceutica è attualmente impegnata nello sviluppo di una terapia sperimentale che potrebbe contribuire a modificare il decorso della malattia.

Molte malattie rare continuano a rappresentare una sfida importante sia per la ricerca sia per i sistemi sanitari - dichiara Federico Chinni, amministratore delegato di Ucb Pharma Italia - Dietro a ogni diagnosi ci sono persone e famiglie che affrontano percorsi spesso complessi e che richiedono risposte sempre più efficaci e personalizzate. Per questo Ucb continua a investire nell'innovazione scientifica, nello sviluppo di nuove soluzioni terapeutiche e nel dialogo con medici, associazioni di pazienti e istituzioni. Crediamo che la collaborazione e una maggiore consapevolezza delle malattie rare siano elementi fondamentali per costruire percorsi di cura sempre più centrati sui bisogni delle persone e migliorare concretamente la loro qualità di vita.

??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Giugno 30, 2026

Autore

redazione

default watermark