



Lal-D, Bardoscia (Alexion): 10 anni di ricerca per confermare efficacia sebelipase.

Descrizione

(Adnkronos) Alexion un'azienda pioniera nelle malattie rare da oltre trent'anni. L'impegno non è soltanto di ricerca, non è solo portare delle soluzioni terapeutiche, cosa che stiamo facendo in maniera concreta da sempre, ma è anche ascolto della comunità, delle persone che vivono con una malattia rara e portare soluzioni innovative che vanno oltre il valore del farmaco. Nell'ambito di lipasi acida lisosomiale, una malattia ultra rara, oggi è una data importante perché portiamo la disponibilità del farmaco per le persone che ne hanno necessità, ma non ci fermiamo qui: oggi è soltanto l'ultimo tassello di un percorso. Lo ha detto Luca Bardoscia, direttore medico Alexion AstraZeneca Rare Disease, oggi a Milano all'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 età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (Lal-D).

Il percorso ha ricordato Bardoscia nasce più di 10 anni fa, periodo in cui siamo stati in grado di lanciare un registro di malattie che ci ha dato la possibilità di raccogliere dati per comprendere meglio questa patologia ultra rara in un contesto internazionale, ma con la presenza di alcuni centri italiani. Siamo riusciti a raccogliere elementi di efficacia a lungo termine della nostra soluzione terapeutica per poter dare concretezza e solidità alle evidenze scientifiche a nostra disposizione. Quanto al lavoro e al supporto da parte di Alexion nei confronti di associazioni pazienti e comunità scientifiche, Bardoscia ha sottolineato che l'ascolto è sicuramente una parte molto importante, comincia tutto da lì nel caso di malattie ultra rare. Noi siamo solo un tassello del sistema che ruota intorno a una persona che vive con patologie simili, e in particolare nel deficit di lipasi acida lisosomiale l'interlocuzione con le associazioni dei pazienti e con le società scientifiche è ancora più importante. Essere in grado di riuscire a cogliere quelle che sono le peculiarità della patologia e riuscire ad incastrare all'interno di un percorso di valore che va oltre la soluzione terapeutica è fondamentale. In quest'ambito, tutto quello che ruota intorno alla awareness di una malattia rara, così come la conoscenza da parte del mondo clinico nel riconoscimento e nel porre la diagnosi differenziale di questa malattia, è essenziale perché ridurre il ritardo diagnostico, o la diagnosi errata, significa miglioramento della qualità della vita del paziente, del contesto sociale che gli ruota

intorno a 360 gradi e degli outcome clinici che lo stesso paziente si aspetta?•.

•?Oggi rendiamo concretamente disponibile un servizio di SpeedRare che, attraverso la metodica hub-spoke, mette a disposizione un centro di rilevanza nazionale centralizzato nella conferma del sospetto diagnostico tramite la ricezione di campioni di sangue raccolti grazie ad un kit fornito dal servizio stesso, con una risposta al sospetto diagnostico entro 20 giorni dalla ricezione del campione. Questo • un passo concreto per ridurre il ritardo diagnostico ed avere un impatto diretto sulla vita delle persone che vivono con questa patologia•, ha concluso.

•?

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 15, 2026

Autore

redazione

default watermark