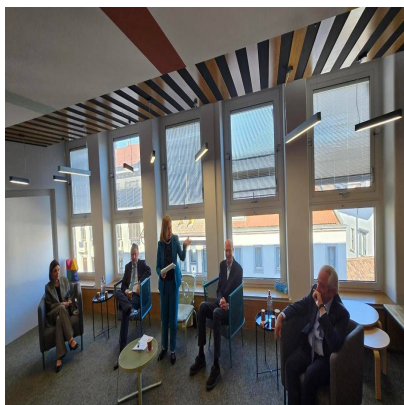




Malattie rare, Aifa approva rimborso a prima terapia mirata contro glomerulopatia da C3

Descrizione

(Adnkronos) L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha ammesso alla rimborsabilità iptacopan, il primo inibitore orale del Fattore B della via alternativa del complemento, primo nella sua classe, per il trattamento di adulti con glomerulopatia da C3 (C3G). Questo risultato, assieme al riconoscimento dello status di innovatività, risponde a un bisogno terapeutico insoddisfatto per i pazienti affetti da C3G essendo questa la prima terapia autorizzata e rimborsata con un meccanismo d'azione specifico per l'evoluzione della malattia ovvero la disregolazione della via alternativa del complemento centrale nella patogenesi della C3G. Questo approccio consente di agire sulla causa della malattia e non solo sui sintomi, con un potenziale beneficio in termini di rallentamento della progressione renale, stabilità dell'eGfr e riduzione della proteinuria.

La glomerulopatia da C3 spiega Novartis in una nota "una patologia renale ultra-rara e progressiva, con una prevalenza italiana di 1-1,5 casi ogni milione di persone. La malattia può avere un esordio precoce in età pediatrica, ma viene spesso diagnosticata in età di giovane adulto, e presenta una prognosi severa: entro dieci anni dalla diagnosi circa la metà dei pazienti svilupperà insufficienza renale avanzata, rendendo necessario il ricorso alla dialisi o al trapianto di rene, con un impatto rilevante sulla vita personale, lavorativa e sociale. La diagnosi di C3G richiede un inquadramento specialistico approfondito e si basa sulla biopsia renale, attualmente il gold standard diagnostico" spiega Giuseppe Grandaliano, professore ordinario di Nefrologia all'Università Cattolica del Sacro Cuore, sede di Roma e direttore della Uoc di Nefrologia di Fondazione Policlinico Gemelli Irccs. Una diagnosi accurata è fondamentale non solo confermare la patologia, ma anche per orientare correttamente il percorso terapeutico.

Il complemento riferisce la nota "una componente del sistema immunitario, costituita da un insieme di proteine che contribuiscono alla difesa dell'organismo. Nella C3G, questo sistema si attiva in modo anomalo e persistente, causando l'accumulo della proteina C3 nei glomeruli e un danno progressivo al rene. All'interno di questo meccanismo, il Fattore B svolge un ruolo chiave come "interruttore" della via alternativa del complemento. La molecola agisce bloccando selettivamente il Fattore B, riducendo l'attivazione incontrollata del complemento e contribuendo a proteggere i glomeruli dal danno infiammatorio. Nello studio di Fase 3 Appear-C3G, alla base

dell'approvazione Aifa, la molecola ha dimostrato una riduzione della proteinuria del 35,1% rispetto al placebo, con un profilo favorevole di sicurezza e tollerabilità; la riduzione della proteinuria si è accompagnata a una stabilizzazione della funzione renale (eGfr) nel follow-up.

Fino a oggi, la glomerulopatia da C3 era una patologia grave senza trattamenti mirati, con soluzioni disponibili di limitata efficacia e di conseguenza un'elevata probabilità di progressione verso dialisi o trapianto, chiarisce Luigi Biancone, professore ordinario di Nefrologia, direttore Sc Nefrologia dialisi trapianto U, presidio Molinette e Cto Aou Città della Salute e della Scienza di Torino. Con questa approvazione si colma un vuoto terapeutico significativo: la disponibilità di uno strumento che interviene selettivamente sulla causa alla base della malattia rappresenta un cambiamento rilevante nel panorama di cura.

La C3G si legge nella nota può manifestarsi già in età pediatrica, ma viene spesso diagnosticata anni avanti nel tempo, con un'età media alla diagnosi intorno ai 21 anni e con un impatto significativo sulla vita quotidiana limitando scuola, lavoro e attività sociali; circa il 25% dei pazienti segnala assenze da scuola o lavoro e il 21% soffre di depressione correlata alla malattia. Per chi vive con la C3G, la difficoltà non è solo clinica, sottolinea Fabrizio Spoletti, presidente dell'associazione di pazienti Progetto Ddd Ets. Il percorso che porta alla diagnosi è spesso lungo e complesso, anche perché si tratta di una patologia ancora poco conosciuta. Una volta ottenuta la diagnosi, molti pazienti faticano a individuare un riferimento clinico stabile e sono costretti a spostarsi lontano dalla propria regione, con un impatto rilevante sulla vita quotidiana e sull'organizzazione familiare. I pazienti segnalano il bisogno di informazioni più accessibili, di centri di riferimento chiaramente identificabili e di percorsi di cura più coordinati. La gestione della malattia aggiunge che richiede monitoraggi frequenti e tempo trascorso in ospedale, con ricadute su scuola, lavoro e qualità di vita. Come associazione, lavoriamo per rompere questo isolamento, favorire la condivisione delle conoscenze e contribuire a costruire reti e indirizzi di cura sempre più chiari, anche attraverso una collaborazione tra centri a livello nazionale e internazionale.

Forte di una storia di oltre 40 anni iniziata nel trapianto, l'impegno di Novartis nella ricerca e sviluppo è mirato a proteggere la funzione del rene e ritardare o prevenire dialisi e/o trapianto. Accanto all'impegno nella C3G, la pipeline include anche altre patologie renali ad alto bisogno insoddisfatto, come la nefropatia da IgA (IgAN) e ulteriori condizioni glomerulari oggetto di studio clinico. L'ammissione alla rimborsabilità di questa molecola rappresenta un traguardo importante per i pazienti italiani con C3G, conclude Paola Coco, Country Chief Scientific Officer e Head of Medical Affairs di Novartis Italia. Questo risultato conferma il nostro impegno nello sviluppo di soluzioni mirate per patologie complesse e ad alto bisogno clinico insoddisfatto. Il riconoscimento di innovatività attribuito alla molecola valorizza ulteriormente il contributo dell'innovazione terapeutica in questo contesto.

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Marzo 31, 2026

Autore

redazione

default watermark