



Malattie rare, da oggi rimborsabile la prima terapia di editing genetico

Descrizione

(Adnkronos) È stata pubblicazione in Gazzetta ufficiale, da parte dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), la rimborsabilità di exagamglogene autotemcel (exa-cel), la prima e unica terapia di editing genetico approvata in Europa per il trattamento di pazienti con beta-talassemia trasfusione-dipendente (Tdt) e anemia falciforme severa (Scd). Lo annuncia in una nota Vertex Pharmaceuticals Incorporated che ha sviluppato il trattamento in collaborazione con Crispr Therapeutics. In Italia, si stima che circa 5mila persone di età pari o superiore a 12 anni convivano con la Tdt e la popolazione di pazienti è ampia in Europa e circa 2.300 con la Scd. L'approvazione della rimborsabilità di exa-cel commenta la farmaceutica: «rappresenta un importante passo avanti nell'accesso a una terapia innovativa che può trasformare la vita delle persone colpite da queste due emoglobinopatie».

L'editing del genoma basato sulla tecnologia Crispr/Cas9 rappresenta una svolta fondamentale per le persone affette da malattie genetiche del sangue, come anemia falciforme e la beta-talassemia dipendente da trasfusione, afferma Franco Locatelli, Phd sperimentatore principale degli studi Climb-111 e Climb-121, professore di Pediatria presso l'Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma e direttore del Dipartimento di Ematologia e oncologia pediatrica dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù. «Gli studi clinici precisi hanno evidenziato risultati molto positivi e oggi siamo lieti che questa innovazione venga a essere disponibile anche in Italia per i pazienti eleggibili al trattamento. Si tratta di una tappa particolarmente importante, che può migliorare in modo significativo la qualità di vita dei pazienti e offrire una risposta concreta a bisogni di cura fino a oggi insoddisfatti».

L'accesso ad exa-cel rappresenta un traguardo di grande rilievo per le persone in Italia che convivono con la beta-talassemia trasfusione-dipendente e anemia falciforme, patologie per le quali le possibilità terapeutiche sono rimaste a lungo limitate, sottolinea Federico Viganò, Country Manager per l'Italia e la Grecia di Vertex Pharmaceuticals. «Grazie alla proficua collaborazione con le autorità sanitarie italiane, è stato raggiunto un accordo che riconosce il valore di una terapia innovativa, somministrata una sola volta, in grado di generare un impatto profondo non solo per i pazienti, ma anche per le loro famiglie e per l'intero Sistema Paese. Con questo importante passo aggiunge: l'Italia si conferma all'avanguardia nel garantire l'accesso pubblico a

trattamenti che possono cambiare la vita•. A seguito della revisione dell'••Agenzia europea per i medicinali che ha confermato l'••efficacia della terapia nell'••eliminare o ridurre le trasfusioni e gli episodi di crisi vaso-occlusive nei pazienti eleggibili con Tdt e Scd, rispettivamente, nel febbraio 2024, exa-cel aveva ottenuto dalla Commissione europea l'••autorizzazione all'••immissione in commercio condizionata.

••

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 8, 2025

Autore

redazione

default watermark