



## Malattie rare: famiglie Duchenne in attesa del rimborso di vamorolone

### Descrizione

(Adnkronos) è approvato dall'Agenzia europea per i medicinali (Ema) e dall'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) per il trattamento di pazienti con distrofia muscolare di Duchenne (Dmd) di età uguale o superiore a 4 anni, vamorolone, farmaco innovativo sviluppato da Santhera, inserito dall'autorità regolatoria in classe Cnn, ad oggi non è ancora rimborsato dal Servizio sanitario nazionale. Mentre è in corso la valutazione del dossier di prezzo e rimborso, Parent Project aps, l'associazione italiana di riferimento per pazienti e genitori con figli affetti da Dmd, ha realizzato un webinar dedicato alla patologia con un focus su stato dell'arte, evidenze e accesso al farmaco.

L'incontro, tenutosi nelle scorse settimane, informa l'associazione in una nota che ha riscosso forte gradimento e partecipazione, per il tema trattato e il setting che ha riprodotto un ambulatorio virtuale per il confronto tra famiglie, pazienti, clinici e stakeholder sui vari aspetti del nuovo farmaco e sull'iter di accesso in evoluzione. Il webinar, disponibile gratuitamente su YouTube, è strutturato in una sessione scientifica dedicata a meccanismo d'azione, evidenze cliniche, sicurezza, gestione e accesso di vamorolone, seguita da uno spazio diretto di confronto Q&A che affronta gli aspetti più sensibili nella gestione della Dmd dal punto di vista delle famiglie e dei clinici.

Parent Project aps è un'associazione di genitori e anche di pazienti che in questi ultimi vent'anni sono diventati per fortuna adulti, grazie ai progressi compiuti dalla ricerca e dalla corretta presa in carico. Lo sviluppo di farmaci innovativi come vamorolone è atteso da tutta la comunità Duchenne, afferma Ezio Magnano, presidente di Parent Project. Fra le numerose attività che portiamo avanti, la presa in carico dei genitori di bambini Duchenne è quella che più di ogni altra rispecchia la nostra mission: offrire supporto psicologico, e non solo, alle famiglie perché una diagnosi di Dmd sconvolge e travolge l'intero nucleo familiare; un'altra attività principe è mettere in contatto le famiglie tra di loro e con i clinici, al fine di garantire la corretta conoscenza delle terapie in fase di sviluppo e della corretta presa in carico quotidiana. La promozione di webinar dedicati è lo strumento più idoneo, veloce e semplice per favorire il dialogo, lo scambio di informazioni, centri di riferimento, l'aggiornamento sugli studi clinici e l'arrivo di terapie innovative, ma anche per favorire la consapevolezza sulla Duchenne e aiutare le famiglie a gestirla al meglio. Parent Project collabora attivamente con tutti gli stakeholders; quindi anche con le industrie farmaceutiche, perché la sinergia è cruciale per sconfiggere la Duchenne. L'introduzione di vamorolone nella pratica clinica

potrebbe rappresentare una novità e opzione farmacologica importantissima nella gestione della Dmd, in quanto potrebbe dimostrare di portare agli stessi risultati, ma migliori nel tempo, degli steroidi già utilizzati e protezione dagli effetti collaterali•.

La farmaceutica Santhera •• ricorda ••associazione •• ha già reso disponibile il farmaco presso alcune strutture che hanno attivato la procedura burocratica per ••approvvigionamento, come i centri Nemo di Milano, Ancona, Brescia e il Policlinico ••G.Martino•• di Messina. In altri centri •• in progress ••attivazione.

La distrofia muscolare di Duchenne •• una grave malattia genetica rara e progressiva legata al cromosoma X e causata da mutazioni nel gene della distrofina, che colpisce 1 su 5mila individui, quasi esclusivamente maschi, e si manifesta con un progressivo indebolimento e degenerazione dei muscoli scheletrici, respiratori e cardiaci, con un impatto severo sulla qualità e ••aspettativa di vita. Vamorolone •• una nuova molecola che, grazie ad un innovativo meccanismo d'azione, •• stata progettata per esplicare un'attività antinfiammatoria efficace pari a quella dei glucocorticoidi di vecchia generazione, ma con un profilo di sicurezza più favorevole.

••Vamorolone •• spiega Luca Bello, professore associato di Neurologia presso il Dipartimento di Neuroscienze Dns dell'••università degli Studi di Padova •• appartiene alla classe dei corticosteroidi ed •• stato sviluppato con ••obiettivo di mantenere ••efficacia antinfiammatoria nella Duchenne, cercando allo stesso tempo di minimizzare gli effetti collaterali riducendo alcune vie di trascrizione genica correlate agli stessi. Inoltre, esprime potenziali benefici cardiometabolici. Nel principale studio clinico, Vision-Dmd, vamorolone consolida un profilo di efficacia sovrapponibile agli steroidi tradizionali nei principali endpoint funzionali, con plus rilevanti su crescita e salute ossea. In particolare, per la densità ossea e le fratture iniziano ad accumularsi dati favorevoli a questo andamento positivo. Naturalmente auspichiamo, come clinici, che vamorolone sia accessibile al più presto in particolare per i pazienti che presentano un rischio elevato di fratture o altre problematiche e hanno una relativa urgenza••.

••

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Ottobre 30, 2025

## Autore

redazione