



Malattie rare: monoterapia orale in Epn, nuovi dati confermano possibilità vita pi<sup>1</sup> normale

## Descrizione

(Adnkronos) • Dalla gestione della malattia alla possibilità di una vita pi<sup>1</sup> normale. Sono le nuove opportunità che si aprono per le persone con emoglobinuria parossistica notturna (Epn) • rara patologia del sangue che si stima colpisca 3-5 pazienti ogni milione di abitanti • alla luce dei dati presentati al congresso dell'European Hematology Association (Eha), recentemente concluso a Stoccolma. I nuovi risultati • informa una nota • confermano, nel lungo periodo, quanto gi<sup>1</sup> osservato con iptacopan, la prima monoterapia orale disponibile anche in Italia, evidenziando un miglioramento clinico duraturo, con livelli di emoglobina che raggiungono e si mantengono nella norma ( $\approx 12$  g/dL) anche fino a 6 anni di trattamento, con un impatto concreto sulla qualità di vita dei pazienti. A un anno dalla rimborsabilità nel nostro Paese, questi dati • rafforzano • il ruolo della monoterapia orale nel rispondere a bisogni clinici ancora non completamente soddisfatti.

• In Italia si stima che circa 500 pazienti convivano con emoglobinuria parossistica notturna. • una patologia del sangue estremamente complessa da gestire, che impatta fortemente sul benessere fisico ed emotivo dei pazienti •, spiega Antonio Risitano, presidente dell'International Pnh Interest Group, e direttore dell'Uoc di Ematologia e Trapianto dell'Aorn Moscati di Avellino. • Si tratta di una malattia del midollo osseo, che non • di tipo tumorale. Nei pazienti si osserva che il funzionamento del midollo osseo • difettoso sia dal punto di vista quantitativo (vengono prodotte meno cellule del sangue, globuli rossi, globuli bianchi e piastrine) che da quello qualitativo (gran parte delle cellule prodotte sono • difettose •). A causa di questo • difetto • i globuli rossi circolanti si distruggono spontaneamente nel sangue, attraverso un meccanismo di emolisi. Ne deriva un' anemia pi<sup>1</sup> o meno severa, che spesso richiede trasfusioni ripetute, e che impatta negativamente sulla qualità della vita dei pazienti. Il difetto delle cellule del sangue • aggiunge • alla base anche di un' altra possibile manifestazione della malattia: la tendenza alla trombosi, che pu<sup>2</sup> determinare complicanze molto severe, talvolta anche mortali •.

Nonostante i progressi degli ultimi anni, una parte significativa dei pazienti continua a presentare anemia persistente e, in alcuni casi, necessita ancora di trasfusioni. • Storicamente la sopravvivenza era stimata intorno ai 20-25 anni dall'insorgenza della malattia • prosegue Risitano • Negli ultimi vent'anni i progressi terapeutici hanno permesso una sostanziale normalizzazione delle

prospettive di vita, grazie all'introduzione di trattamenti in grado di controllare le principali manifestazioni cliniche, come trombosi e anemia. Oggi l'obiettivo è andare oltre, migliorando ulteriormente i livelli di emoglobina per avere un impatto ancora più significativo sulla qualità di vita dei pazienti.

La monoterapia orale precisa l'esperto sta mostrando risultati rilevanti proprio in questa direzione. Gli studi recenti confermano le potenzialità dell'inibitore selettivo del fattore B del complemento, iptacopan, che agisce in modo mirato consentendo di controllare sia l'emolisi di tipo intravascolare, sia quella di tipo extravascolare, che spesso diventava clinicamente significativa durante le terapie precedenti, rappresentandone uno dei principali limiti. Un ulteriore elemento di rilievo è rappresentato dalla somministrazione orale, che semplifica la gestione della malattia, riduce la dipendenza dalle strutture ospedaliere e alleggerisce il carico quotidiano per i pazienti.

I nuovi dati presentati a Stoccolma che includono analisi degli studi di fase 3 Apply e Appoint e le relative estensioni evidenziano come una quota rilevante di pazienti riesca a raggiungere e mantenere livelli di emoglobina nella norma ( $\geq 12$  g/dL) nel lungo periodo, si legge nella nota. In particolare, oltre il 70% dei pazienti presenta valori normalizzati a 3 e 4 anni di trattamento, mentre l'87% risulta libero da trasfusioni durante l'intero periodo osservato. I benefici si mantengono anche nel tempo, con evidenze disponibili fino a 6 anni di follow-up. Al tempo stesso non si segnalano particolari criticità in termini di sicurezza e tollerabilità, mentre migliorano i principali sintomi della malattia, a cominciare dalla fatigue.

Questi dati concludono gli esperti rafforzano il ruolo di iptacopan come opzione terapeutica in grado di offrire un controllo stabile della malattia. Per molti pazienti questo si traduce nella possibilità di ridurre la necessità di trasfusioni, migliorare parametri clinici chiave e recuperare una maggiore normalità nella vita quotidiana. Con un periodo di osservazione che ormai supera i 6 anni per tutti i pazienti inseriti in questi trial clinici si può affermare che questa terapia ha permesso di spostare in alto l'asticella del trattamento dell'Epn, aggiungendo, all'allungamento della sopravvivenza e alla prevenzione delle gravi complicanze della malattia, anche la normalizzazione dei parametri ematologici ed il conseguente miglioramento della qualità della vita.

??

cronaca

[webinfo@adnkronos.com](mailto:webinfo@adnkronos.com) (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Giugno 15, 2026

## Autore

redazione

*default watermark*