



Neurofibromi plessiformi, ok Ue a selumetinib anche in adulti con Nf1

Descrizione

(Adnkronos) Selumetinib, inibitore orale e selettivo di Mek, è stato approvato nell'Unione europea per il trattamento dei neurofibromi plessiformi (Pn) sintomatici e inoperabili in pazienti adulti con neurofibromatosi di tipo 1 (Nf1). Lo annuncia Alexion, AstraZeneca Rare Disease, spiegando che il via libera della Commissione europea fa seguito al parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) dell'Agenzia europea dei medicinali (Ema) ed è basato sui risultati dello studio Komet, il più ampio e unico studio internazionale di fase 3, controllato con placebo, in questa popolazione di pazienti. I dati sono stati presentati al Congresso annuale 2025 dell'American Society of Clinical Oncology (Asco) e pubblicati su The Lancet.

La Nf1 ricorda l'azienda in una nota è una malattia genetica rara e progressiva, solitamente diagnosticata nella prima infanzia, ma che spesso progredisce fino all'età adulta e può colpire tutti gli organi. Fino al 50% delle persone affette da Nf1 può sviluppare un tipo di tumore non maligno chiamato neurofibroma plessiforme, che può colpire il cervello, il midollo spinale e i nervi. I Pn possono comparire nel corso della vita e crescere fino a diventare di grandi dimensioni, causando dolore, deformità e debolezza muscolare, oltre ad altri sintomi debilitanti. L'approvazione in Europa di selumetinib per gli adulti affetti da Nf1 con Pn offre a pazienti e medici una nuova possibilità di cura, contribuendo a colmare le lacune terapeutiche oltre et pediatrica, afferma Pierre Wolkenstein, direttore Dipartimento di Dermatologia ospedale Henri Mondor, Aphp, università di Parigi Est (Upec), e coordinatore nazionale della sperimentazione Komet in Europa. Come dimostrato nello studio di fase 3 Komet, lo studio clinico in fase avanzata più solido condotto finora su questo gruppo di pazienti sottolinea lo specialista gli adulti trattati con selumetinib hanno registrato una significativa riduzione del volume tumorale, con un profilo di sicurezza coerente con il suo uso consolidato nei pazienti pediatrici, confermando i benefici clinici di selumetinib sia per gli adulti di nuova diagnosi sia per quelli in transizione verso le cure dell'età adulta.

Dichiara Marc Dunoyer, Ceo di Alexion, AstraZeneca Rare Disease: L'approvazione da parte della Ce estende il potenziale trasformativo di selumetinib agli adulti affetti da Nf1 con Pn nella regione, garantendo continuità delle cure anche in età adulta. Questo traguardo, insieme alla nostra leadership pionieristica nel panorama terapeutico della Nf1 con Pn, incarna il costante impegno di Alexion nel rispondere alle esigenze insoddisfatte della comunità delle malattie rare. Siamo ansiosi di

rendere disponibile selumetinib il prima possibile agli adulti che ne hanno bisogno in tutta Europa•. Nell'analisi primaria dello studio •• dettaglia la nota •• selumetinib ha mostrato un tasso di risposta obiettiva (Orr) statisticamente significativo del 20% rispetto al 5% del placebo al ciclo 16. Dopo 12 cicli, i pazienti trattati con placebo sono passati a selumetinib e i pazienti trattati con selumetinib hanno continuato il trattamento per altri 12 cicli. Il profilo di sicurezza del farmaco nello studio Komet •• risultato coerente con quello già noto e il suo uso consolidato nei pazienti pediatrici. Sulla base degli stessi risultati, selumetinib •• stato recentemente approvato in Giappone e in altri Paesi per il trattamento di pazienti adulti con Nf1 affetti da Pn sintomatici e inoperabili. Sono in corso ulteriori revisioni regolatorie.

••

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 12, 2025

Autore

redazione

default watermark