

Nf1, via libera al rimborso per il trattamento dei neurofibromi plessiformi

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Lâ??Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilitÃ di EzmeklyÂ® (mirdametinib) in monoterapia per il trattamento dei neurofibromi plessiformi (Pn) sintomatici e non operabili in pazienti pediatrici e adulti affetti da neurofibromatosi di tipo 1 (Nf1) di etÃ pari o superiore a 2 anni . La decisione â?? pubblicata in Gazzetta Ufficiale n. 253 del 30/10/2026 con determina del 20 ottobre numero 1421-2026 â?? rende il trattamento disponibile a carico del Servizio sanitario nazionale (Ssn) per i pazienti eleggibili in Italia, informa Merck in una nota. La neurofibromatosi di tipo 1 Ã¨ una condizione genetica rara, ereditaria nel 50% dei casi e multisistemica. Da una meta-analisi effettuata su studi prevalentemente europei, emerge una prevalenza di Nf1 di circa 3 persone ogni 10mila.

Nota anche come Sindrome di predisposizione ai tumori, la Nf1 puÃ² interessare numerosi organi e apparati e manifestarsi con un ampio spettro di complicanze cliniche. In particolare, i pazienti con Nf1 presentano un rischio doppio rispetto alla popolazione generale, di sviluppare neoplasie nel corso della loro vita, la cui manifestazione avviene in media intorno ai 39 anni. Tra il 30% e il 50% delle persone con Nf1 â?? precisa la nota â?? sviluppa nel corso della vita neurofibromi plessiformi, tumori che crescono lungo le guaine dei nervi periferici e che causano dolore cronico nel 77% dei pazienti, deturpazione, limitazioni funzionali e un significativo impatto sulla qualitÃ della vita. La gestione di queste lesioni Ã¨ particolarmente complessa quando non Ã¨ possibile procedere con lâ??intervento chirurgico e anche a seguito dellâ??intervento, si osserva un tasso di ricrescita dei neurofibromi plessiformi pari al 20% in caso di resezione completa e fino al 68% in caso di resezione parziale. Fino ad oggi, le opzioni terapeutiche accessibili ai pazienti adulti con neurofibromatosi di tipo 1 erano limitate e non specifiche. Con la rimborsabilitÃ di una nuova terapia indicata sia per una popolazione pediatrica che per gli adulti, si aprono dunque nuove prospettive di trattamento per una fascia di pazienti ad alto bisogno terapeutico.

â??Le persone con Nf1 e neurofibromi plessiformi associati convivono con una condizione genetica rara e complessa che puÃ² avere un impatto significativo sul benessere psicologico e sulla qualitÃ di

vitaâ?•, afferma Chiara Leoni, responsabile della Uos Malattie rare pediatriche e Terapie Innovative della Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli Irccs di Roma. â??La gestione richiede una presa in carico specialistica e multidisciplinare che accompagni il paziente nellâ??arco di tutta la vita. La disponibilitÃ di mirdametinib amplia oggi le opportunitÃ terapeutiche per i pazienti con neurofibromi plessiformi sintomatici non operabili. Si tratta di una terapia a bersaglio molecolare che inibisce uno specifico enzima che gioca un ruolo chiave nella proliferazione delle cellule tumorali del plessiforme. I dati al momento disponibili hanno evidenziato una risposta con riduzione del volume tumorale fino a oltre il 50% con conseguenti benefici cliniciâ?•. Mirdametinib â?? riferisce la nota â?? Ã¨ un inibitore selettivo, non competitivo delle proteine chinasi attivate da mitogeni 1 e 2 (MEK1/2): uno dei meccanismi che regolano la crescita delle cellule. Nella neurofibromatosi di tipo 1 (NF1), questo sistema puÃ² essere eccessivamente attivo e contribuire alla crescita dei neurofibromi plessiformi. Lâ??inibizione di MEK blocca la proliferazione e la sopravvivenza delle cellule tumorali in cui Ã¨ attivata la via di segnalazione RAFâ??MEKâ??ERK, con lâ??obiettivo di limitare la crescita del tumore.

Il farmaco Ã¨ disponibile in capsule rigide e in compresse dispersibili, per semplificare lâ??assunzione e supportare lâ??aderenza terapeutica di adulti e bambini con difficoltÃ di deglutizione. Lo schema posologico prevede un ciclo di 28 giorni, con assunzione due volte al giorno per i primi 21 giorni e 7 di pausa. â??Il trattamento â?? continua Leoni â?? ha dimostrato efficacia clinica e un profilo di sicurezza favorevole sia nei bambini che negli adulti. Ã? disponibile anche in una formulazione dispersibile in acqua, per le persone con difficoltÃ di deglutizione come i bambini piccoli o come i pazienti adulti con disfagiaâ?•.

default watermark

La rimborsabilitÃ di mirdametinib per adulti e bambini dai 2 anni si basa sui risultati dello studio multicentrico di fase 2b ReNeu, che ha coinvolto 114 pazienti totali, pediatrici e adulti, con Nf1-Pn sintomatica e non operabile. Lo studio ha raggiunto lâ??endpoint primario dimostrando un tasso di risposta obiettiva (Orr) del 41% negli adulti e del 52% nei pazienti pediatrici. In entrambe le popolazioni sono stati inoltre osservati benefici in termini di risposte profonde con riduzione del volume tumorale fino a oltre il 50%, con conseguente diminuzione del dolore e dei deficit funzionali associati alla patologia. Questo significa una risposta profonda al farmaco, con un sensibile miglioramento dei sintomi e dellâ??impatto sulla QoL del paziente. I risultati dello studio sono stati pubblicati su â??Journal of Clinical Oncologyâ??. I dati dellâ??analisi a lungo termine, dopo 4 anni di trattamento, confermano il profilo di efficacia, evidenziando un Orr che migliora nel tempo negli adulti (fino al 47% entro 4 anni) e nei bambini (fino al 55% entro 4 anni). Una maggiore durata di trattamento ha consentito anche il raggiungimento di risposte profonde (deep responses) sia negli adulti (fino al 70% entro 4 anni), che nei pazienti pediatrici (fino al 65% entro 4 anni). Gli effetti avversi correlati al trattamento (Traes) sono diminuiti dopo il primo anno di terapia.

Con mirdametinib Merck entra nellâ??ambito delle malattie rare â?? si legge nella nota â?? In questâ??area, lâ??azienda intende diventare un punto di riferimento per i pazienti e la comunitÃ scientifica, non solo offrendo soluzioni terapeutiche valide, ma anche supportando la definizione di percorsi terapeutici sempre piÃ¹ incentrati sulla persona, olistici e orientati a rispondere ai bisogni clinici ed extra clinici dei pazienti. â??Lâ??approvazione della rimborsabilitÃ di mirdametinib rappresenta un traguardo importante per le persone con neurofibromatosi di tipo 1 e per le loro famiglie, e siamo

orgogliosi di poter mettere a disposizione dei pazienti adulti e pediatrici una nuova opzione terapeutica che possa fare fronte ai loro bisogni clinici â?? sottolinea RamÃ³n Palou de Comasema, presidente e amministratore delegato Healthcare di Merck Italia â?? Questa approvazione segna una pietra miliare con cui Merck inizia il proprio percorso nellâ??area delle malattie rare: un ambito in cui possiamo portare risposte concrete con i nostri farmaci e dove intendiamo fare la differenza al fianco di clinici, pazienti e del sistema sanitario, promuovendo servizi a supporto della qualitÃ della vita ed iniziative che favoriscano lâ??adozione di approcci sempre piÃ¹ â??umano-centriciâ?? alle cure, a tutela di chi convive con una condizione raraâ?•.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

default watermark

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Novembre 2, 2026
Autore
redazione