Sindrome di von Hippel-Lindau, disponibile in Italia prima terapia sistemica

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Lâ??Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ha approvato la rimborsabilitÃ di belzutifan per il trattamento di pazienti adulti affetti dalla malattia di von Hippel-Lindau (Vhl) che hanno sviluppato carcinoma a cellule renali (Rcc) localizzato, emangioblastomi del sistema nervoso centrale (Snc) o tumori neuroendocrini del pancreas e per i quali le procedure locali non sono adeguate. La decisione di Aifa â?? informa Msd in una nota â?? segue lâ??approvazione della Commissione europea avvenuta in seguito ai risultati dello studio di fase 2 Litespark-004 in cui belzutifan ha continuato a dimostrare benefici clinici dopo un follow-up mediano di circa 50 mesi, con un tasso di risposta obiettiva (Orr) del 67% nei pazienti con carcinoma renale associato a Vhl. Inoltre, lo studio ha evidenziato risposte durature sia nei tumori neuroendocrini del pancreas che negli emangioblastomi del Snc, riducendo o ritardando la necessitÃ di ricorrere a interventi chirurgici ripetuti. â??Belzutifan Ã¨ una molecola first in class appartenente alla famiglia degli inibitori del fattore 2Î± inducibile dallâ??ipossia (Hiv-2Î±) ed Ã¨ la prima e unica opzione di trattamento sistemico approvato per questi pazientiâ?•, riferisce la farmaceutica.

La Vhl Ã¨ una malattia genetica rara e multisistemica che predispone allo sviluppo di tumori, sia benigni che maligni, in diversi organi del corpo. Nel corso della loro vita, circa il 70% dei pazienti sviluppa carcinomi renali a cellule chiare, il 60-80% emangioblastomi del Snc e circa il 5-10% tumori neuroendocrini pancreatici. La prevalenza Ã¨ di 1/53.000 casi e lâ??incidenza annuale alla nascita 1/36.000. Colpisce uomini e donne in modo equivalente ed esordisce solitamente tra la seconda e la quarta decade di vita (lâ??etÃ media alla diagnosi Ã¨ 26 anni), sebbene i primi segni possano talvolta apparire giÃ nellâ??infanzia. Fino a oggi, la gestione clinica si Ã¨ basata prevalentemente sulla sorveglianza attiva seguita da procedure locali. Questo approccio espone i pazienti alla necessitÃ di sottoporsi a diversi interventi chirurgici nel corso della vita, con possibili disabilitÃ quali la riduzione o perdita della vista, la compromissione motoria o neurologica e lâ??insufficienza renale, riducendo la qualitÃ di vita.

â??Quello a cui assistiamo oggi rappresenta un cambiamento rilevante nella gestione clinica delle persone con malattia di von Hippel-Lindau, una patologia ereditaria rara associata allo sviluppo di neoplasie benigne e maligne in differenti distretti anatomici, in particolare a carico di rene, pancreas e Sncâ?•, afferma Alfonso Massimiliano Ferrara, medico endocrinologo presso Uosd UnitÃ tumori e

EI SRL - P.IVA IT16017671005

reditari, Istituto oncologico veneto (Iov) â?? Irccs, Padova. â??La Vhl Ã¨ una patologia complessa caratterizzata da elevata eterogeneitÃ clinica e da un decorso cronico che richiede sorveglianza continuativa, valutazioni specialistiche integrate e, frequentemente, interventi chirurgici ripetuti nel tempo. In questo contesto â?? chiarisce â?? belzutifan rappresenta un avanzamento significativo, introducendo un nuovo paradigma terapeutico nella gestione della malattia di Vhl nelle sue diverse manifestazioni cliniche. Si tratta infatti della prima e unica terapia sistemica target rimborsata in Italia per i pazienti con Vhl che necessitino di trattamento per carcinoma renale a cellule chiare localizzato, tumori neuroendocrini pancreatici ed emangioblastomi del Snc. La disponibilitÃ di un trattamento mirato, in grado di agire simultaneamente sulle principali manifestazioni della malattia â?? prosegue Ferrara â?? consente di rispondere a un importante bisogno clinico ancora insoddisfatto, con il potenziale di ridurre la necessitÃ di procedure locali e di interventi chirurgici ripetuti nel corso della storia clinica del paziente, preservando piÃ¹ a lungo la funzionalitÃ dâ??organo e contribuendo a migliorare la gestione complessiva della patologia oltre che la qualitÃ di vita del paziente. Rimane tuttavia fondamentale un approccio multidisciplinare alla patologia, elemento imprescindibile nella presa in carico dei pazienti con Vhl, per definire nel tempo il percorso assistenziale e terapeutico piÃ¹ appropriato sulla base delle caratteristiche cliniche individuali, dellâ??evoluzione della malattia e del coinvolgimento dei diversi organi interessatiâ?•.

default watermark

â??Lâ??accesso a belzutifan in regime di rimborsabilitÃ segna un punto di svolta per la gestione della Vhl in Italia, offrendo una nuova speranza ai pazienti e alle loro famiglie, rafforzando lâ??importanza di un approccio multidisciplinareâ?•, si legge nella nota.

â??Lâ??approvazione da parte di Aifa della rimborsabilitÃ di belzutifan rappresenta un traguardo di grande rilievo e, per Msd, motivo di autentico orgoglio, perchÃ© consente di rendere disponibile anche in Italia la nuova opzione terapeutica per le persone che convivono con la sindrome di von Hippel-Lindau, una patologia ereditaria rara, complessa e multisistemica per la quale, per lungo tempo, sono mancate risposte mirateâ?•, dichiara Nicoletta Luppi, presidente e amministratrice delegata Msd Italia. â??In uno scenario in cui la gestione della Vhl si Ã¨ basata prevalentemente sulla sorveglianza clinica e sul ricorso a interventi locali o chirurgici spesso ripetuti â?? osserva Luppi â?? la disponibilitÃ di belzutifan, prima e unica terapia target sistemica rimborsata in Italia per questa sindrome, apre oggi la possibilitÃ di un concreto cambio di paradigma. La decisione di Aifa segna un passaggio particolarmente significativo, perchÃ© permette di offrire finalmente ai pazienti unâ??innovazione terapeutica in un ambito caratterizzato da elevata complessitÃ clinica e da bisogni rimasti a lungo insoddisfatti. Questo risultato â?? aggiunge â?? rappresenta inoltre una nuova, importante tappa nella nostra storia nelle malattie rare e in oncologia, aree in cui Msd Ã¨ impegnata da anni nello sviluppo di soluzioni allâ??avanguardia. Ed Ã¨ anche grazie a traguardi come questo che rinnoviamo la nostra volontÃ di portare innovazione dove ce nâ??Ã¨ piÃ¹ bisogno: proprio in quei contesti in cui la raritÃ rischia di tradursi in minore visibilitÃ , ma dove Ã¨ fondamentale continuare a fare la differenza, contribuendo in modo concreto a migliorare la vita delle personeâ?•.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Giugno 8, 2026
Autore
redazione

default watermark