

Emofilia B, primo paziente curato in Italia con terapia genica

Descrizione

(Adnkronos) - Primo paziente con emofilia B trattato in Italia con la terapia genica approvata per questa malattia genetica rara potenzialmente letale, l'Hemgenix* (etranacogene dezaparvovec). A somministrarla l'equipe del Centro emofilia del Policlinico di Milano, punto di riferimento di eccellenza a livello internazionale per la gestione dei disturbi della coagulazione. Questa terapia viene somministrata in una sola infusione, indicata per adulti con patologia moderatamente grave (deficit congenito del Fattore IX della coagulazione) senza storia di inibitori del fattore FIX, che può avere un impatto significativo nella qualità di vita dei pazienti. La terapia genica per l'emofilia B grave e moderatamente grave è stata da poco autorizzata in Italia dall'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) ed è quindi disponibile attraverso il Servizio sanitario nazionale con uno schema di rimborso basato sulle evidenze. "Questo risultato rappresenta un passo importante nell'evoluzione della gestione dell'emofilia B", afferma Flora Peyvandi, direttrice della Medicina interna e emostasi e trombosi del Policlinico milanese, dove è attivo anche il Centro di riferimento per l'emofilia e la trombosi 'Angelo Bianchi Bonomi'. "Per la prima volta nel nostro centro, identificato come riferimento della regione Lombardia per la Rete malattie emorragiche congenite (Mec) - sottolinea - abbiamo a disposizione una terapia genica somministrata in una unica infusione che può consentire ai pazienti di produrre autonomamente il Fattore IX, riducendo così la necessità di infusioni regolari e l'impatto della malattia sulla loro quotidianità, offrendo nuove prospettive per migliorare la qualità della vita dei pazienti". Sebbene le terapie attuali siano relativamente efficaci nel maggior numero di pazienti, necessitano di somministrazioni regolari che incidono in modo significativo sulla vita delle persone con emofilia B. Etranacogene dezaparvovec si somministra in un'unica infusione endovenosa e utilizza un vettore adeno-associato per introdurre nelle cellule il gene funzionale che consente al fegato di produrre Fattore IX in modo autonomo e duraturo, contribuendo a prevenire o ridurre in modo significativo gli episodi di sanguinamento. "Il trattamento del primo paziente in Italia con etranacogene dezaparvovec rappresenta un momento importante per la comunità dell'emofilia. I trattamenti attualmente disponibili, basati su ripetute infusioni endovenose, costituiscono infatti ancora oggi un notevole onere per le persone che vivono con l'emofilia B, in grado di influenzare negativamente il manage familiare, le relazioni personali e le attività quotidiane", spiega Cristina Cassone, presidente della Federazione delle associazioni emofiliche - FedEmo. "Grazie alla disponibilità di questa nuova opzione terapeutica - rimarca - una singola infusione può cambiare la prospettiva di chi ad oggi convive con l'emofilia B, riducendo il peso della terapia e assicurando una maggiore serenità alle persone e alle loro famiglie". "Questo risultato è il frutto del lavoro e della collaborazione tra la comunità medica, le autorità sanitarie, le associazioni pazienti e Csl, con l'obiettivo comune di garantire anche ai pazienti italiani affetti da emofilia B l'accesso ad un trattamento rivoluzionario", dichiara Marianna Alacqua, Medical Affairs Director Csl Behring Italia. "Questo importante traguardo - conclude - è un'ulteriore conferma dell'impegno di Csl a migliorare la vita delle persone affette da disturbi della coagulazione e da malattie rare attraverso l'innovazione scientifica".
salutewebinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. News Nazionali

Tag

1. adnkronos
2. salute

Data di creazione

Dicembre 3, 2025

Autore

admin

default watermark