

4 aprile 2016 18:14

ITALIA: Due nuovi farmaci per malattie rare curabili solo con staminali compatibili

L'Agenzia europea del farmaco (Ema) ha raccomandato l'approvazione di due nuovi farmaci per altrettante malattie rare, l'Ada-scid e la malattia di Fabry. Si tratta di una terapia genica per l'Ada-Scid, malattia immunitaria ultra-rara, da usare nel caso in cui non si trovi un donatore compatibile per il trapianto di cellule staminali, e del primo farmaco ad uso orale per la malattia di Fabry. L'Ada-scid lascia l'organismo privo di immunita' per combattere qualsiasi tipo di infezione, si manifesta nei primi 6 mesi di vita e generalmente e' letale entro i primi 2 anni di vita, a meno che non vengano ripristinate le funzioni del sistema immunitario. In Europa non ci sono farmaci autorizzati per il suo trattamento. Sono stati eseguiti trapianti di cellule staminali ematopoietiche dal midollo osseo, ma il successo del trattamento dipende dalla compatibilita' tra donatore e malato. La terapia genica e' dunque un'alternativa per i pazienti privi di un donatore compatibile. Il farmaco e' ricavato dalle stesse cellule del midollo osseo immaturo del malato, in cui viene inserito il gene la cui mancanza causa la malattia. Una volta che le cellule vengono iniettate nel paziente, si sviluppano in diversi tipi di cellule immunitarie e del sangue, dando al malato la capacita' di produrre i globuli bianchi per combattere le infezioni. Usando lo stesso midollo del paziente non c'e' il rischio di rigetto e si riducono i rischi di infezione dovuti alla terapia immunosoppressiva. La malattia di Fabry e' una rara malattia genetica, causata dalla carenza dell'enzima alpha-galactosidase A, e porta a blocchi renali, problemi cardiaci e aumenta il rischio di ictus. Il farmaco raccomandato dall'Ema e' a base di migalast, ed e' il primo orale. Attualmente il trattamento standard consiste in iniezioni intravenose con copie dell'enzima mancante.