

*Novità importante per i pazienti affetti da acromegalia, patologia endocrina rara causata da un tumore benigno dell'ipofisi, che in Italia colpisce alcune migliaia di persone prevalentemente nella fascia di età dai 40 ai 60 anni: pasireotide (Signifor®) approvato per il trattamento dei pazienti nei quali l'intervento chirurgico sia non indicato o non risolutivo e non adeguatamente controllati con gli analoghi della somatostatina di prima generazione. Quasi la metà (45%) dei pazienti con acromegalia non raggiunge il controllo della malattia con i farmaci attuali: pasireotide cambia il paradigma di trattamento di questa patologia, aumentando di circa 1/4 i pazienti che possono essere trattati con successo*



Prof. Andrea Lenzi

Roma, 13 giugno 2016 – Un'innovazione importante nel trattamento dell'acromegalia, patologia endocrina rara causata da un tumore benigno dell'ipofisi, che compromette in modo rilevante la qualità di vita dei pazienti: pasireotide, farmaco analogo della somatostatina di seconda generazione già disponibile per il trattamento della malattia di Cushing, ha ricevuto anche in Italia l'indicazione per il trattamento dei pazienti con acromegalia nei quali l'intervento chirurgico sia non indicato o non risolutivo e non adeguatamente controllati con gli analoghi della somatostatina di prima generazione.

L'acromegalia si manifesta con l'ingrossamento, in lunghezza e in larghezza, delle ossa delle mani, dei piedi e del volto e l'aumento di volume di alcuni organi, a cui si associano importanti complicanze. Quasi la metà (45%) dei pazienti non raggiunge il controllo della malattia con i farmaci attuali, gli analoghi della somatostatina (SSA) di prima generazione.

Adesso pasireotide cambia il paradigma di trattamento di questa patologia, aumentando in modo consistente la percentuale di pazienti che possono essere trattati con successo: negli studi clinici pasireotide si è dimostrato capace di normalizzare i parametri biochimici, migliorare i sintomi e di ridurre il volume del tumore, con un miglioramento della qualità di vita.

“Lo scenario delle opzioni terapeutiche per il trattamento delle patologie rare si sta ampliando e una nuova importante opportunità si apre per i pazienti affetti da acromegalia – dichiara Andrea Lenzi, presidente della SIE, Società Italiana di Endocrinologia – grazie alla nuova indicazione, pasireotide potrà essere utilizzato come nuovo trattamento ad azione diretta sull'ipofisi. Pasireotide è una pietra miliare perché consente di gestire con efficacia la malattia acromegalica, con un buon profilo di sicurezza e

maneggevolezza, e offre a noi endocrinologi l'opportunità di trattare gli acromegalici fino ad oggi non controllati”.



Prof.ssa Annamaria Colao

L'acromegalia è considerata una malattia rara ma in Italia, con un'incidenza di 5-6 nuovi casi l'anno e una prevalenza di 60-70 casi per milione di abitanti, colpisce alcune migliaia di persone riducendo la loro aspettativa e qualità di vita. “L'acromegalia è caratterizzata da una produzione eccessiva di ormone della crescita GH (growth hormon), quasi sempre sostenuta da un tumore ipofisario, che determina l'attivazione di altri ormoni, in particolare l'IGF-1 o fattore di crescita insulino-simile-1 – spiega Ezio Ghigo, professore ordinario di Endocrinologia all'Università degli Studi di Torino – l'ipersecrezione ormonale determina l'anomalo ingrandimento delle estremità e compromette l'equilibrio metabolico, con sviluppo di diabete. Si tratta perciò di una patologia molto grave per la compromissione fisionomica e sistemica dell'organismo e della qualità di vita, con impatto anche sull'attesa di vita”.

La diagnosi precoce è fondamentale per avviare il prima possibile il trattamento dell'acromegalia e prevenire le modificazioni ossee irreversibili e le gravi complicanze, in particolare quelle cardiovascolari. Ma in genere trascorrono circa 8 anni dall'insorgenza dei primi sintomi alla diagnosi. Per la maggior parte dei pazienti si fa ricorso all'intervento chirurgico per asportare il tumore mentre le terapie farmacologiche vengono utilizzate per controllare i valori di GH e IGF-1, migliorare la sintomatologia e ridurre le complicanze.

La peculiarità di pasireotide, somministrato per via intramuscolare una volta al mese, è la sua elevata affinità di legame per i recettori della somatostatina: non solo per il recettore sst2 alla stregua dei vecchi analoghi ma anche per il recettore sst3, con impatto nella riduzione della massa tumorale, e per il recettore sst5 presente su questo tipo di adenomi ipofisari.



Prof. Andrea Giustina

L'efficacia di pasireotide è stata valutata in due studi clinici: nel primo, uno studio 'testa a testa' disegnato per i pazienti mai trattati prima con farmaci in cui pasireotide è stato confrontato ad octreotide, pasireotide ha dimostrato una maggiore efficacia verso octreotide; il secondo studio (PAOLA) condotto in pazienti non controllati dai vecchi analoghi (octreotide e lanreotide) ha invece confermato la maggiore efficacia di pasireotide rispetto a questi precedenti trattamenti.

“L'acromegalia non controllata comporta un significativo aumento della mortalità, un dato drammatico se consideriamo che fino ad oggi potevamo raggiungere il controllo entro il primo anno solo in circa la metà dei pazienti – osserva Annamaria Colao, professore ordinario di Endocrinologia all'Università degli Studi “Federico II” di Napoli – adesso, grazie a pasireotide, il farmaco più simile alla somatostatina naturale, e al suo innovativo meccanismo d'azione, riusciremo a tenere sotto controllo circa il 30% dei pazienti in più”.

Per i pazienti acromegalici che finora non rispondevano ai trattamenti con gli analoghi della somatostatina di prima generazione si aprono dunque nuove prospettive di trattamento e un futuro sicuramente migliore sotto il profilo della qualità di vita.

“L'avvento di pasireotide rappresenta un salto di qualità importante nella gestione della malattia acromegalica in quanto ci permetterà di trattare una quota rilevante dei pazienti che non sono efficacemente controllati con i farmaci in uso – osserva Andrea Giustina, professore ordinario di Endocrinologia all'Università degli Studi di Brescia – È auspicabile l'inserimento di pasireotide nelle Linee Guida per la gestione dell'acromegalia quale farmaco di seconda linea indicato nei pazienti non controllati con gli analoghi di prima generazione”.

*fonte: ufficio stampa*