



FONDAZIONE IRCCS CA' GRANDA
OSPEDALE MAGGIORE POLICLINICO

Sistema Sanitario  Regione
Lombardia

Iniziando invece le terapie con il farmaco plasma-derivato si può dimezzare la resistenza alle cure e garantire a molte più persone con emofilia un trattamento efficace. Studio internazionale SIPPET guidato dal Policlinico di Milano



Milano, 6 novembre 2015 – Chi soffre di emofilia ha un difetto della coagulazione del sangue: il suo organismo non riesce a controllare il sanguinamento, e anche una minima ferita può diventare una grave emorragia. I pazienti devono sottoporsi a cure costanti, sin dalla nascita: per trattarli esistono farmaci ricavati dal plasma umano, oppure creati in laboratorio con le biotecnologie. Ora uno studio internazionale pubblicato sulla rivista scientifica *Blood* e guidato dagli esperti del Policlinico di Milano ha scoperto che il farmaco biotecnologico è il più immunogenico dei due, ovvero scatena di più la reazione del sistema immunitario del paziente, almeno nei primi mesi di terapia.

L'emofilia è una malattia genetica rara che colpisce ogni anno in Europa un nuovo nato ogni 5mila. I pazienti devono sottoporsi a iniezioni periodiche, anche fino a 120 l'anno, per reintegrare quei fattori di coagulazione del sangue che non riescono a produrre da soli. Ma le terapie non sono prive di problemi: circa il 30% dei malati con emofilia A (il tipo più frequente, che colpisce l'85% di tutti gli emofilici) sviluppa anticorpi contro questo fattore di coagulazione, rendendo le terapie inefficaci.

Come per i pazienti con diabete, che hanno un costante bisogno di insulina, le persone con emofilia A hanno bisogno di iniezioni del Fattore VIII della coagulazione; in commercio ne esistono di due tipi, il plasma-derivato (estratto cioè dal sangue di una persona sana) e il ricombinante (che ricrea il Fattore VIII in laboratorio). Negli ultimi 30 anni le cure si sono orientate molto più sui prodotti ricombinanti, a causa dei gravi problemi che ci sono stati in passato con le trasfusioni e la trasmissione di patologie come l'epatite C e l'AIDS, anche se dagli anni Novanta in poi questo problema è stato superato. Gli studi precedenti non sono riusciti a dare risultati conclusivi; solo ora, con lo studio SIPPET, si è riusciti a chiarire in modo evidente che i pazienti curati con il fattore ricombinante hanno una frequenza quasi doppia (+87%) di sviluppare anticorpi contro il Fattore VIII, rendendo quindi inefficace la terapia.

Lo studio SIPPET, i cui risultati sono appena stati resi pubblici dalla Società americana di ematologia (ASH), ha come coordinatori e primi autori Flora Peyvandi, responsabile del Centro Emofilia e Trombosi “Angelo Bianchi Bonomi” del Policlinico di Milano, e Pier Mannuccio Mannucci, direttore scientifico della struttura. Insieme a loro hanno partecipato alcuni centri italiani (Università degli Studi di Milano, Azienda Ospedaliera di Padova, Policlinico Umberto I di Roma) insieme ad esperti di ospedali e università di tutto il mondo (Egitto, India, Iran, USA, Messico, Sud Africa, Spagna, Brasile, Austria, Arabia Saudita, Cile, Turchia, Argentina, Olanda). La ricerca è stata supportata, tra gli altri, dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) e dal Ministero della Salute italiano.

I ricercatori hanno studiato oltre 250 pazienti (un numero alto, data la rarità della malattia) di 14 Paesi del mondo, che non erano mai stati trattati prima con un fattore di coagulazione, e li hanno seguiti per tre anni. “Si tratta del primo lavoro scientifico randomizzato, che confronta cioè nel modo più obiettivo possibile la terapia con prodotti ricombinanti o plasma-derivati – commentano gli autori – parliamo di bimbi con meno di 6 anni, ma che in media hanno 14 mesi di vita: i risultati dello studio hanno grandi implicazioni nella scelta di quale tipo di prodotto vada somministrato ai pazienti, dato che lo sviluppo degli anticorpi è uno dei più grossi problemi nella gestione dell'emofilia A”.

Di solito, aggiungono gli esperti, “questa *resistenza* alla terapia si sviluppa entro le prime 20 iniezioni con il fattore VIII: questo significa che se iniziassimo le terapie nei bambini con emofilia con il prodotto plasma-derivato invece che con il fattore ricombinante, potremmo dimezzare la resistenza alla terapia e garantire a molte più persone con emofilia una cura adeguata”.

Peraltro i prodotti plasma-derivati sono meno costosi di quelli ricombinanti: questo porterebbe non solo ad un consistente risparmio per i sistemi sanitari, ma permetterebbe anche un migliore accesso alle cure nei Paesi più svantaggiati dal punto di vista economico. Va però sottolineato che il fattore ricombinante si può produrre sempre, mentre quello plasma-derivato ha bisogno di donazioni di sangue, e quindi si può ricavare in quantità inferiori. “Per questo – concludono gli esperti del Policlinico – avremo sempre bisogno di entrambi i tipi di fattore VIII”.

fonte: ufficio stampa