



FONDAZIONE IRCCS CA' GRANDA
OSPEDALE MAGGIORE POLICLINICO

Sistema Sanitario  Regione
Lombardia



Milano,

18 aprile 2024 - È un giovane uomo il primo paziente ad aver ricevuto la terapia genica contro l'emofilia A grave. L'infusione della terapia è avvenuta a inizio aprile al Policlinico di Milano e la procedura ha avuto pieno successo. Ciò avviene a distanza di poche settimane dall'autorizzazione regionale che individua il Policlinico come unico centro hub per trattare l'emofilia di tipo A grave in pazienti adulti.

“Questo

risultato - spiega Flora Peyvandi, direttrice della Medicina - Emostasi e Trombosi del Policlinico, dove è attivo anche il Centro di riferimento per l'emofilia e la trombosi Angelo Bianchi Bonomi - riveste particolare importanza in occasione della Giornata dell'Emofilia, che si celebra oggi. La terapia genica rappresenta un passo significativo nella gestione delle patologie emorragiche ereditarie, offrendo nuove prospettive e speranze per migliorare la qualità della vita dei pazienti”.

La

terapia genica contro l'emofilia A grave è stata da poco autorizzata in Italia dall'Agenzia Italiana del Farmaco ed è quindi erogabile attraverso il Servizio Sanitario Nazionale. Il trattamento standard consiste nella terapia sostitutiva che può comportare frequenti infusioni, ma che in determinati casi porta allo sviluppo di una complicanza definita 'inibitore', e c'è bisogno che non si sia manifestata perché la terapia genica funzioni.

La

terapia genica è quindi indicata “per l'emofilia di tipo A grave in pazienti adulti senza inibitore. Se somministrata in questi pazienti, mantiene la sua efficacia per alcuni anni con una singola infusione al momento non ripetibile”, precisa Flora Peyvandi.

La

sperimentazione di questa tecnica sul primo paziente italiano è avvenuta nel 2019 proprio al Policlinico di Milano, e ha contribuito in pochi anni a portare questa terapia genica alla sua approvazione.

“Continueremo

a monitorare da vicino il paziente - conclude Peyvandi - e a seguire i progressi della terapia genica in Policlinico, impegnandoci a portare avanti l'innovazione e a migliorare costantemente le opzioni terapeutiche a disposizione delle persone con emofilia”.

“Il

nostro Ospedale - sottolinea Matteo Stocco, direttore generale del Policlinico di Milano - assiste numerosi pazienti affetti da emofilia grave o moderata, posizionandoci come uno dei centri di eccellenza europei per il trattamento di questa malattia. Questo risultato tangibile è frutto dell'impegno congiunto di ematologi, internisti, infermieri, tecnici e ricercatori, oltre a tutte le altre figure professionali che si dedicano quotidianamente alla cura dei nostri pazienti. Siamo fieri di aver ricoperto un ruolo di primo piano fin dall'avvio di questa significativa innovazione nel trattamento dell'emofilia”.