



*I risultati dello studio internazionale SIPPET, coordinato da ricercatori della Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e Università degli Studi di Milano, evidenziano come nei pazienti con emofilia A grave il trattamento con prodotti ricombinanti porti ad un rischio di sviluppo dell'inibitore maggiore dell'87% rispetto al trattamento con prodotti plasma-derivati. Lavoro su New England Journal of Medicine*



Milano, 26 maggio 2016 – SIPPET (Survey of Inhibitors in Plasma-Products Exposed Toddlers) è il primo studio randomizzato nel campo dell'emofilia sul ruolo del tipo di prodotto di trattamento dell'emofilia A grave nello sviluppo di inibitore. La ricerca, guidata da Flora Peyvandi e Pier Mannuccio Mannucci, della Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico e dell'Università degli Studi di Milano, è stata sponsorizzata dalla Fondazione Angelo Bianchi Bonomi con il supporto finanziario del Ministero della Salute e fondi non vincolati da parte di Grifols, Kedrion e LFB.

I pazienti con emofilia A soffrono di episodi di sanguinamento per tutta la vita a causa della mancanza nel loro sangue del Fattore VIII della coagulazione. I sanguinamenti possono essere trattati o prevenuti grazie all'infusione di concentrati di Fattore VIII, ricavati dal plasma umano, oppure ricombinanti, cioè creati in laboratorio con le biotecnologie. Mentre da un parte questi trattamenti hanno normalizzato l'aspettativa di vita dei pazienti con emofilia A, un significativo numero, circa il 30%, dei bambini sviluppa anticorpi (inibitori) contro il Fattore VIII; questo rende il trattamento non efficace, complicando la gestione clinica di questi pazienti con difficile controllo dei sanguinamenti e aumentata mortalità, nonché aumenta in modo significativo il suo costo.

Lo studio SIPPET ha coinvolto 42 centri emofilia in 14 paesi di Europa, Nord e Sud America, Africa e Asia, ed è stato pensato per rispondere al quesito a lungo dibattuto sull'influenza dei diversi prodotti di trattamento (Fattore VIII plasma-derivato o ricombinante) sullo sviluppo di inibitore contro il Fattore VIII in pazienti con emofilia A grave.

È il primo studio clinico randomizzato che quindi assegna "a caso" ai pazienti il tipo di prodotto di trattamento, Fattore VIII plasma-derivato o Fattore VIII ricombinante. Gli studi randomizzati sono ritenuti dai clinici in grado di fornire il più alto livello di evidenza.

Lo studio è stato condotto tra il 2010 e il 2015. Di 251 pazienti arruolati e i cui dati sono stati analizzati, 76 hanno sviluppato un inibitore; 29 di 125 pazienti trattati con i prodotti plasma-derivati e 47 di 126 trattati con i prodotti ricombinanti hanno sviluppato un inibitore. L'analisi statistica ha dimostrato che il trattamento con prodotti ricombinanti porta ad un rischio di sviluppo dell'inibitore maggiore dell'87% rispetto al trattamento con prodotti plasma-derivati.

I risultati, pubblicati su *New England Journal of Medicine*, possono avere grosse implicazioni nella scelta dei prodotti di trattamento dei pazienti, poiché evitare lo sviluppo di inibitore rappresenta la maggior sfida nella gestione dei pazienti con emofilia A.

*fonte: ufficio stampa*