

*Lo studio è stato pubblicato sull'ultimo numero di Blood, la rivista più importante nell'ambito delle malattie ematologiche. Francesca Fioredda: "In un paziente cronico iniettare un farmaco salvavita a cadenza settimanale anziché giornaliera migliora la cura e cambia la qualità della vita e delle relazioni personali"*



Carlo Dufour e Francesca Fioredda

Genova, 3 novembre 2016 – Gli ematologi dell'Istituto Giannina Gaslini hanno validato una nuova terapia contro la neutropenia sperimentando l'utilizzo di una molecola a lunga vita, che fornisce risultati clinici migliori rispetto alla cura attualmente in uso e allo stesso tempo migliora notevolmente la qualità della vita dei bambini affetti, che passano da iniezioni quotidiane a iniezioni settimanali. L'articolo sullo studio ideato e realizzato interamente dal Gaslini è stato pubblicato su *Blood*, la principale rivista internazionale nell'ambito dell'Ematologia.

“Siamo orgogliosi di poter affermare che ancora una volta l'Istituto Gaslini è in grado di offrire risposte complete di presa in carico ai suoi piccoli pazienti: accoglienza, diagnosi molecolare, terapia innovativa, supporto psicosociale, infermieristico e di laboratorio. Tutto questo anche grazie ad una ricerca traslazionale che migliora al letto del malato la compliance e insieme l'efficienza della cura” ha spiegato il direttore generale del Gaslini Paolo Petralia.

“Questo fatto sottolinea la centralità a livello nazionale e internazionale del nostro grande Policlinico Scientifico per le validazioni cliniche: dalle patologie più comuni dell'infanzia a quelle più rare” ha aggiunto il direttore scientifico del Gaslini prof. Alberto Martini.



La patologia

La neutropenia cronica severa (NCS) è una malattia rara (1 su 1.000.000) caratterizzata da valori bassi di neutrofili (<200 /mmc), un tipo di globulo bianco che difende dalle infezioni batteriche fungine; l'assenza di queste cellule è incompatibile con la vita tanto che, prima della scoperta del farmaco salvavita attualmente in uso, il 90 % dei pazienti moriva nei primi anni di vita.

“Dal 1991 esiste un farmaco (G-CSF) che iniettato ogni giorno ha sovvertito la prognosi dei bambini affetti da neutropenia, che oggi nel 90% dei casi hanno un'aspettativa di vita normale, sottoponendosi a controlli periodici per monitorare il rischio di trasformazione della neutropenia in leucemia, insito nella malattia stessa. La necessità di somministrazioni giornaliere però può rappresentare un ostacolo per il raggiungimento di una protezione ottimale dalla neutropenia: lo schema e la via di somministrazione di un farmaco ha solitamente un impatto non indifferente sulla compliance, specie nei pazienti più giovani” spiega Carlo Dufour direttore dell'UOC Ematologia del Gaslini, centro di riferimento nazionale per le malattie da insufficienza midollare.

### **Lo studio per l'utilizzo di un farmaco a lunga azione**

Di recente è stato introdotto in commercio un farmaco a lunga azione, che è stato usato per altre patologie, gli ematologi del Gaslini hanno deciso di testarlo per la neutropenia.

“Grazie ad un'emivita più lunga la somministrazione di questo farmaco (rHU metG-CSF) può essere meno frequente – spiega Francesca Fioredda dirigente medico della UOC Ematologia e responsabile dello studio – La somministrazione settimanale di un prodotto anziché giornaliera migliora completamente la compliance dei pazienti. Il farmaco somministrato ogni 7-9 giorni da risultati superiori a quello dato ogni giorno, sia per quanto riguarda l'aumento del numero dei neutrofili, sia per quanto riguarda la diminuzione delle infezioni, sia per quanto riguarda la qualità di vita dei pazienti e delle loro famiglie, che è migliorata moltissimo, e infine per gli aspetti psicologici legati alla gestione della malattia (inferiore limitazione della sfera delle attività e della percezione del dolore)” conclude la dott.ssa Fioredda.

“La validazione di un farmaco è un processo onerosissimo molto complesso e articolato, che richiede un importante impegno di risorse umane e materiali, finalizzato a condurre una sperimentazione al contempo garantendo la massima tutela e sicurezza per il paziente coinvolto nello studio” spiega il dott. Carlo Dufour direttore dell'UOC Ematologia del Gaslini.

“Lo studio che ha prodotto la validazione di questo farmaco è un prodotto Gaslini al 100%: dalla diagnosi molecolare dei pazienti, alla strutturazione e conduzione dello studio, alla gestione psicologica dei pazienti stessi. Uno sforzo collettivo tutto gasliniano che si è avvalso di medici, infermieri, biologi, psicologi e data manager” sottolinea il direttore della UOC Ematologia.

*fonte: ufficio stampa (foto: Laboratorio Fotografico Gaslini)*