



Pubblicati i risultati sulla rivista New England Journal of Medicine e aggiornate le linee guida dell'OMS



Roma, 22 dicembre 2022 - Un nuovo regime terapeutico di sei mesi per il trattamento orale della tubercolosi multiresistente ai farmaci (MDR-TB), risulta più sicuro ed efficace rispetto agli altri regimi esistenti. È quanto confermano i risultati di uno studio di Medici Senza Frontiere (MSF) pubblicato oggi sul *New England Journal of Medicine*.

I risultati sono frutto del TB-Practecal, il primo studio clinico internazionale controllato e randomizzato che ha valutato la sicurezza e l'efficacia di una terapia di sei mesi per via orale, raccomandata nelle [linee guida aggiornate sul trattamento per la tubercolosi \(TB\) dell'Organizzazione Mondiale della Sanità \(OMS\)](#). È la prima volta che i risultati dello studio TB-Practecal vengono pubblicati su una rivista medica peer-reviewed.

“È una grande soddisfazione che i risultati dello studio siano stati pubblicati sul *New England Journal of*

Medicine dopo un rigoroso processo di peer-review - afferma Bern-Thomas Nyang'wa, direttore medico di MSF e principal investigator dello studio - Questa pubblicazione fornirà dati più approfonditi che deciderà di usare il regime TB-Practecal in aggiunta alle raccomandazioni dell'OMS. Fino a pochi anni fa, in 50 anni non erano stati trovati nuovi trattamenti per la tubercolosi. Questo perché la malattia non colpisce direttamente i contesti in cui ci sono le risorse per combatterla. Con questo studio MSF ha cercato di colmare questo vuoto. Ora è essenziale che il nuovo trattamento sia messo a disposizione di tutti coloro che ne hanno bisogno”.

L'arruolamento della sperimentazione, terminato nel marzo 2021, ha incluso 552 pazienti in sette siti diversi in Bielorussia, Sudafrica e Uzbekistan. Attualmente, cinque paesi supportati da MSF hanno iniziato ad implementare il regime breve di trattamento con quasi 400 pazienti che hanno iniziato il trattamento e altri otto paesi che lo implementeranno nel 2023.

Lanciato nel 2017, il TB-Practecal ha testato tre combinazioni di nuovi trattamenti confrontandoli alla terapia standard accettata a livello locale, con risultati positivi. Un regime di sei mesi di bedaquilina, pretomanid, linezolid e moxifloxacin (BPaLM) si è dimostrato il più efficace e sicuro. Lo studio ha anche esaminato un regime di bedaquilina, pretomanid e linezolid (BPaL) e un regime di bedaquilina, pretomanid, linezolid e clofazimina (BPaLC).

“Abbiamo iniziato lo studio clinico TB-Practecal nove anni fa perché qualcosa andava fatto. I pazienti ci dicevano che i regimi precedenti erano lunghi, inefficaci, estenuanti e che gli effetti collaterali erano peggiori della malattia stessa. Inoltre, l'efficacia era molto bassa: solo una persona su due è stata curata. Il nuovo regime BPaLM ha l'89% di efficacia, è più sicuro, più breve, meglio tollerato e si devono assumere meno farmaci” dice il dott. Nyang'wa di MSF.

Lo studio clinico di MSF di fase II/III ha rilevato che il nuovo regime breve di trattamento BPaLM è molto efficace contro la tubercolosi resistente alla rifampicina e più sicuro rispetto alla terapia standard. L'89% dei pazienti del gruppo BPaLM sono guariti rispetto a 52% del gruppo trattato con terapia standard, e nel gruppo BPaLM sono stati registrati meno effetti collaterali rispetto all'altro gruppo. Anche i regimi BPaLC e BPaL hanno avuto risultati migliori rispetto alla terapia standard.

“Quando ho saputo di avere la tubercolosi, non potevo crederci, è stato devastante scoprirlo - racconta Abdirakhman, uno studente di matematica di 24 anni in Uzbekistan che ha dovuto interrompere i suoi studi dopo che gli è stata diagnosticata - Ho scelto di partecipare alla sperimentazione clinica TB-Practecal e sono stato selezionato casualmente per il trattamento di sei mesi, più breve rispetto ai due anni standard. Ci sono stati momenti difficili, ma è stato comunque meglio di due anni di cura. Ora ho finito il

ciclo di cure e sono tornato all'università”.

Anche se questo nuovo regime dà speranza alle 500.000 persone che ogni anno si ammalano di DR-TB, attualmente il prezzo globale più basso fornito al Global Drug Facility (GDF) è di circa 600 dollari per un ciclo di trattamento di sei mesi di BPaLM, cifra ancora al di sopra del prezzo massimo di 500 dollari richiesto da MSF.

La bedaquilina, uno degli altri nuovi farmaci per la TB sviluppato da Johnson & Johnson con un significativo sostegno governativo e filantropico, ha il prezzo più basso pari a 270 dollari per un trattamento di sei mesi, nonostante i ricercatori abbiano stimato che il farmaco potrebbe essere prodotto e venduto a meno di 102 dollari per la cura di sei mesi. Di fatto, è probabile che tutti e tre i regimi del TB-Practecal riducano i costi del trattamento rispetto all'attuale standard terapeutico.

“Il regime di trattamento BPaLM più breve, più sicuro e più efficace sperimentato in TB-Practecal potrebbe trasformare la vita delle persone affette da tubercolosi, ma solo se il costo dei farmaci sarà accessibile - dichiara Christophe Perrin, farmacista della Campagna per l'accesso ai farmaci di MSF - La bedaquilina è stata sviluppata anche con ingenti fondi pubblici e per questo chiediamo a Johnson & Johnson di abbassare il prezzo di questo farmaco in modo che un corso completo di trattamento della DR-TB non superi i 500 dollari a persona. Troppe persone sono morte a causa di questa malattia e chi è affetto dalla tubercolosi merita un accesso immediato a cure più brevi, più sicure ed economicamente accessibili”.

MSF e TB

MSF è uno dei maggiori fornitori non governativi di cure per la TB in tutto il mondo. Nel 2021, 17.221 persone seguite da MSF hanno iniziato il trattamento per la TB, comprese 2.309 persone affette da DR-TB. MSF sta lavorando a stretto contatto con i programmi nazionali per la TB, i ministeri della salute e altri soggetti chiave per garantire che questo nuovo regime sia disponibile per le persone affette da DR-TB il prima possibile.

TB-Practecal

Il TB-Practecal è uno studio multistadio, controllato, randomizzato, con quattro bracci. Nella fase 1 i pazienti vengono arruolati in 4 diversi bracci: 3 di questi includono regimi terapeutici sperimentali (BPaLM, BPaLC e BPaL) e uno la terapia standard di controllo. La fase 2 include due bracci: quello del trattamento sperimentale (BPaLM) e quello della terapia standard.

Lo studio ha coinvolto complessivamente 552 pazienti, di cui 301 inclusi nell'analisi, pubblicata sul *New England Journal of Medicine*. Questi stessi dati sono stati forniti all'OMS a febbraio 2022 per la revisione da parte del Gruppo di sviluppo delle linee guida e sono stati poi inseriti nelle linee guida aggiornate sulla DR-TB.

Inoltre, ad ottobre 2022, MSF ha approvato e pubblicato una Clinical Trial Transparency Policy con l'impegno di pubblicare una serie di voci di costo per i costi delle sperimentazioni cliniche; un passo di fondamentale importanza per aumentare l'accesso ai farmaci e ai prodotti medici per tutti coloro che ne hanno bisogno.