

Italia

Leucemia, farmaco funziona ma è solo per ricchi: 400 mila euro per il Kymriah di Novartis, è polemica

Scoppia la polemica per il prezzo del farmaco Kymriah che cura la leucemia: 400 mila euro per un'unica somministrazione. Il presidente di Novartis difende il costo del trattamento.

News News News News News News News News News News

Il farmaco 'rivoluzionario' contro la leucemia Kymriah di Novartis sta facendo molto discutere per il prezzo proposto dalla casa farmaceutica: stiamo parlando di 475 mila franchi, 400 mila euro, per un'unica somministrazione che praticamente nessun sistema sanitario nazionale può permettersi. Si tratta quindi di una terapia accessibile unicamente per chi ha la disponibilità economica.

Le dichiarazioni di Novartis

In questi mesi il farmaco ha regalato nuove speranze ai malati di leucemia, ma ha fatto anche molto discutere. In un'intervista del Blick, il presidente del CDA di Novartis Jörg Reinhardt ha dichiarato: "Kymriah non è una semplice pastiglia, ma un processo molto complesso. Le cellule dei pazienti vengono rimosse, modificate per la terapia genica e reinsertite nuovamente. Questo processo è complicato e costoso. Pertanto il prezzo è giustificato. Inoltre Kymriah è un trattamento una tantum, mentre la terapia standard, che costa 100.000 franchi all'anno, può essere molto più costosa".

Cos'è il Kymriah

Il farmaco in questione, il Kymriah, è il primo approvato dalla FDA che si basa su **terapia genica**⁽¹⁾, che come spiegava Reinhardt utilizza il materiale genetico del paziente per curare la malattia. L'obiettivo del farmaco è la leuce-



mia linfoblastica acuta ed è mirato per il pazienti sotto i 25 anni che non reagiscono ai trattamenti attualmente disponibili e consiste in un'unica somministrazione. Il Kymriah in pratica modifica un gene dei pazienti che permette ai linfociti T di identificare e uccidere le cellule responsabili della leucemia.

Effetti collaterali

Per quanto la sperimentazione abbia dimostrato un'efficacia dell'83% sui 63 pazienti che hanno partecipato al test, restano comunque da considerare gli effetti collaterali che sembrerebbero particolarmente pericolosi: parliamo di sindrome da rilascio di citochine che porta a influenza, febbre alta, disturbi neurologici, infezioni acute, insufficienza renale, ipotensione e ipossia.

(1) Parliamo di **'terapia genica'** quando utilizziamo del materiale genetico all'interno delle cellule per curare le malattie. Nel caso specifico di Kymriah, infatti i linfociti T prelevati dal paziente vengono modificati geneticamente, al loro interno viene inserito un nuovo gene che contiene una specifica proteina, chiamato recettore antigenico chimerico (CAR), che porta gli

stessi linfociti T ad identificare e uccidere le cellule responsabili dello sviluppo della leucemia che hanno uno specifico antigene (CD19) sulla loro superficie: una volta modificate, queste cellule vengono infuse nel paziente che riesce così a guarire.

Tratto da scienze.fanpage.it

Da Atlanta: un'arma in più per i malati di leucemia

Al congresso dell'American Society of Hematology, sarà presentato uno studio che dimostra l'efficacia di una nuova cura per chi soffre di leucemia linfatica cronica. Un cocktail aiuta i pazienti per i quali le attuali cure non funzionano

Un'arma in più nella lotta contro la leucemia linfatica cronica. È il venetoclax, un farmaco di nuova generazione, che potrebbe aiutare i pazienti con la forma più grave di questa malattia, quella recidivante refrattaria ai trattamenti. L'approvazione per il suo utilizzo in monoterapia è appena arrivata lo scorso settembre, eppure la ricerca ha già pronta una novità importante: lo studio Murano, un trial di fase 3 appena concluso dimostra infatti l'efficacia di venetoclax in associazione con l'anticorpo monoclonale rituximab, una combinazione che si rivelerebbe superiore allo standard attuale per i pazienti refrattari alle terapie di prima e seconda linea. I risultati saranno presentati proprio nei prossimi giorni durante il congresso annuale dell'American Society of Hematology, che si terrà ad Atlanta tra il 9 e il 12 di dicembre. Estando alle indiscrezioni lascerebbero trapelare un'altra novità importante: la possibilità di sospendere il venetoclax nei pazienti che rispondono a pieno alla terapia.

IL FARMACO - Venetoclax è un inibitore selettivo della proteina BCL-2. È il primo di una nuovissima categoria di farmaci che privano le cellule tumorali della loro "immortalità", ripristinando il normale ciclo vitale e portandole così alla morte. "BCL-2 è una proteina che immortalizza le cellule", spiega Marco Montillo, referente italiano dello studio Murano e direttore del programma di trattamento dei disturbi linfoproliferativi cronici dell'Ospedale Niguarda. "Impedisce cioè il normale ciclo vitale che si conclude con la morte cellulare programmata, o apoptosi, e in questo modo permette alle cellule tumorali di proliferare senza controllo". La proteina in questione è particolarmente presente nelle cellule leucemiche, ed è uno dei principali motori della loro crescita neoplastica. Per questo motivo venetoclax risulta efficace e particolarmente potente: inibendo la proteina ripristina il ciclo vitale naturale dei linfociti. "Si tratta di un farmaco orale - continua Montillo - che ha ricevuto a gennaio l'approvazione da parte dell'Ema, e da settembre è disponibile anche in Italia. Quello che abbiamo voluto capire con il nuovo studio è se fosse possibile potenziarne ulteriormente l'efficacia, affiancandogli un anticorpo monoclonale già utilizzato per il trattamento della leucemia linfatica cronica".

LO STUDIO - È così che nasce lo studio Murano: un trial clinico internazionale di fase 3, che ha valutato l'efficacia del nuovo regime di trattamento contro lo standard di cura attuale. In questo caso parliamo di pazienti recidivanti/refrattari ai trattamenti di prima e seconda linea, per i quali attualmente viene consigliato il ricorso alla com-

binazione di bendamustina (un chemioterapico) e rituximab. 389 pazienti sono stati arruolati per la sperimentazione, e sono stati divisi in modo casuale in modo da avere un numero uguale di soggetti in terapia con entrambe le combinazioni di farmaci. La terapia è durata per un massimo di due anni, al termine dei quali i risultati dei due gruppi di pazienti sono stati confrontati. I dati emersi (preliminari in attesa della pubblicazione), sono estremamente interessanti: la sopravvivenza libera da progressione (la percentuale di pazienti a cui la terapia impedisce il peggioramento della malattia) stimata a due anni dall'inizio del trattamento è risultata dell'84,9% tra quelli in trattamento con il venetoclax, contro il 36,3% osservato tra i pazienti che hanno ricevuto la bendamustina. Tutto considerato, i risultati parlano di una riduzione dell'83% del rischio di progressione della malattia o morte rispetto alla terapia standard. "Si tratta di risultati molto incoraggianti - sottolinea Montillo - sia in termini di sopravvivenza in assenza di progressione, sia dal punto di vista della percentuale di negatività di malattia minima residua, cioè il numero di casi in cui la malattia non è più riscontrabile con i nostri esami di laboratorio. Sono dati che probabilmente porteranno a rivedere gli attuali paradigmi di trattamento per queste categorie di pazienti".

SOSPENDERE LA TERAPIA - Oltre a dimostrare l'ottima efficacia della combinazione venetoclax-rituximab, lo studio Murano ha messo in luce anche un'altra interessante caratteristica del nuovo farmaco: la possibilità di sospendere la terapia. Questo tipo di medicinali solitamente non risulta più efficace una volta interrotta l'assunzione, e viene quindi somministrato a vita. Da qui nasce un problema definito financial toxicity: trattandosi di farmaci costosi e trattamenti continuativi, i pazienti diventano estremamente costosi per il sistema sanitario. Venetoclax sembrerebbe però differente: "Non è chiaro se sia legato al suo specifico meccanismo di azione, o piuttosto alla sua elevata efficacia - chiarisce Montillo - ma quel che abbiamo notato è che in alcuni pazienti il farmaco è tornato a essere efficace anche dopo essere stato interrotto". Si tratta di un aspetto che necessita di essere studiato più a fondo, ma che se confermato aprirebbe le porte a un sistema di somministrazione differente: cicli di terapia che, in caso di risposta ottimale del paziente, potrebbero essere interrotti, per poi riprendere al primo segnale di peggioramento. Con enormi benefici in termini di qualità di vita del paziente, e di risparmio per le casse dei sistemi sanitari pubblici come quello italiano.

Tratto da Repubblica.it

News News News News News News News News



800 591147

Leucemia: incremento annuo nei bambini e negli adolescenti

Circa 175.000 casi di cancro sono diagnosticati nei bambini di età inferiore ai 15 anni, con un incremento annuo dello 0,9% nei paesi sviluppati.

Il Cancro infantile è raro e il suo tasso di sopravvivenza è aumentato significativamente nel corso degli anni grazie al progresso nelle tecnologie di trattamento; tuttavia, è ancora una delle principali cause di morte tra i bambini e gli adolescenti nei paesi sviluppati, classificandosi al secondo posto colpendo i bambini di età compresa tra 1 e 14 anni. Il cancro infantile sta anche emergendo come una delle principali cause di morte negli ultimi anni in Asia, America centrale e meridionale, Africa nord-occidentale e Medio Oriente.

Ma quanto ne sappiamo su questa patologia?

La leucemia è una malattia che colpisce le cellule progenitrici dei globuli bianchi, perturbando i meccanismi che ne regolano la sintesi ed il differenziamento. La parte interessata maggiormente è il midollo osseo che viene danneggiato, ostacolando la normale formazione di cellule del sangue, ed è il tumore infantile più comune, rappresentando circa il 30% di tutte le neoplasie infantili.

Tra i bambini, sia la leucemia linfocitica acuta (ALL) che la leucemia mieloide acuta (LMA) vengono solitamente diagnosticate in forma acuta. Dal 1975 al 2011, il tasso di incidenza della leucemia è aumentato negli Stati Uniti di una media annuale dello 0,7% per i bambini e adolescenti di età compresa tra 0 e 19 anni, mentre nell'Unione europea, l'aumento annuale dell'incidenza delle leucemie tra il 1978 e il 1997 era in media dello 0,6%.

AIRTUM, l'Associazione italiana registri tumori, stima che per il quinquennio 2016-2020, in Italia, saranno diagnosticate 7.000 neoplasie tra i bambini e 4.000 tra gli adolescenti, mediamente 164 casi di tumore maligno per milione di bambini (0-14 anni) e 269 casi per milione di adolescenti (15-19 anni). Tuttavia, molto poco è noto della sua eziologia. Sono stati identificati alcuni fattori di rischio per i tumori infantili, compresa la leucemia, come: la sindrome di Down, l'esposizione a radiazioni ionizzanti e

virus come l'Epstein-Barr. L'ipotesi di Greaves, "the Infective Agent Theory", delinea un processo oncogenico a 2 stadi per la leucemia infantile: una mutazione genetica in utero che causa una predisposizione genetica al cancro seguita successivamente da un'esposizione ritardata a un agente infettivo. È stato anche suggerito che vi è una variazione stagionale statisticamente significativa nelle date di inizio della leucemia infantile, simile a focolai di malattie trasmissibili.

Cosa consigliano i pediatri?

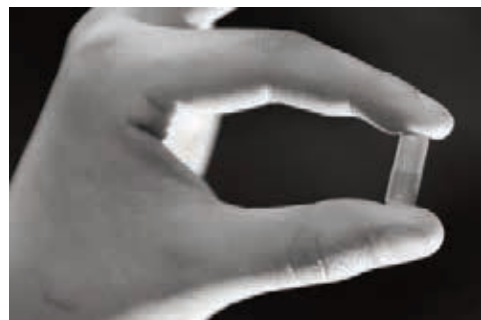
Il latte materno è un alimento totale destinato a fornire esclusivamente tutti i bisogni nutrizionali dei lattanti. Le attuali raccomandazioni delle principali organizzazioni sanitarie, tra cui l'American Academy of Pediatrics e l'Organizzazione Mondiale della Sanità, affermano che "i bambini devono essere allattati esclusivamente per i primi sei mesi di vita per raggiungere una crescita, uno sviluppo e una salute ottimale.

Successivamente, per soddisfare le loro esigenze nutrizionali in evoluzione, i bambini dovrebbero ricevere alimenti complementari nutrizionalmente adeguati e sicuri mentre l'allattamento continua fino a due anni o oltre". Pertanto, l'allattamento al seno è il primo alimento di un bambino e una sostanziale esposizione nella prima infanzia. Lo scopo di questa revisione sistematica e della meta-analisi era di esaminare una possibile relazione tra l'allattamento al seno e la leucemia infantile.

I tumori pediatrici sono sempre più curabili?

Fortunatamente con il progredire della ricerca, negli ultimi quarant'anni, il tasso di mortalità è in netta diminuzione. Il merito è largamente attribuibile all'uso della chemioterapia, ai trapianti di midollo osseo, terapia farmacologica, l'immunoterapia e alla migliore capacità di individuare le caratteristiche molecolari della malattia e di trovare la cura più adatta.

Tratto da Blastingnews.it





800 59 11 47

dal lunedì al venerdì
orario d'ufficio

ONLUS



DIREZIONE

Via G. Murat 85 - 20159 Milano
Tel: 02 69008117 - Fax 02 69016332

**Sito Internet: www.emo-casa.com
info@emo-casa.com**

Come aiutarci:

- a mezzo versamento c/c postale 40444200 intestato a: **Progetto Emo-Casa Onlus**
- con bonifico bancario Monte dei Paschi di Siena Ag. 14 - Milano
cod. IBAN IT95 K010 3001 6140 0000 0256 054
- con bonifico bancario Banca Popolare di Sondrio Ag. 15 - Milano
cod. IBAN IT23 R056 9601 6140 0000 3788 X80
- devolvendo il 5 per mille alla nostra Associazione c.f. 97205190156 usando:
mod. integrativo CUD; mod. 730/1-bis redditi; mod. unico persone fisiche

16124 Genova P.tta Jacopo da Varagine 1/28

Tel. 010 2541440

Fax 010 2473561

E-mail: progettoemocasonlus.ge@gmail.com

35138 Padova Via Bezzecca, 4/c

Tel. 049 8713791

Fax 049 8714346

Cassa di Risparmio del Veneto

Filiale 01404 - Padova - Via Montà 109

IBAN IT62 L062 2512 1141 0000 0101 464

E-mail: emocasa.pd@gmail.com

Delegazione Padova - Venezia

48121 Ravenna Via Pellegrino Matteucci, 20

Tel. e Fax 0544 217106

E-mail: emo.ra@libero.it

38122 Trento Via Zara, 4

Tel. e Fax 0461 235948

Cassa Rurale di Trento

Filiale di Trento - Via Grazioli

IBAN IT03 H083 0401 8330 0000 9791 479

E-mail: progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com

Delegazione Trento - Belluno

28100 Novara Via Gnifetti, 16

Tel. e Fax 0321 640171

E-mail: emocasa.novara@gmail.com

37135 Verona Via Rovigo, 23

Tel. 045 8205524

Fax 045 8207535

Cassa di Risparmio del Veneto

Filiale 00813 - Verona - Viale del Lavoro 8

IBAN IT35 Z062 2511 7376 2500 6300 415

E-mail: progetto.emocasa.vr@gmail.com

Delegazione Verona - Brescia - Mantova

Unità mobile

Sede Ponente Ligure:

P.zza della Libertà 10/1 - 17055 Toirano (SV)

Tel. 347 5745626

36100 Vicenza

Tel. 0444 303708

Banca Popolare di Vicenza

Filiale 5 - Vicenza - Viale Trieste 335

IBAN IT87 X057 2811 8030 1557 0352 831

Emoflash

MENSILE ORGANO UFFICIALE DELL'ASSOCIAZIONE "Progetto Emo-casa Onlus"

Direzione, Redazione, Amministrazione, Via G. Murat 85 - 20159 Milano • tel: 02 69008117 - fax 02 69016332

Direttore Responsabile: Tesolin Flavio

Comitato di Redazione: Nosari Anna Maria Rita, Crugnola Monica, Zaffaroni Livio, Maggis Francesco, De Miccoli Rita, Andreescu Luminita Mihaela

Iscrizione Tribunale di Milano N. 174 del 16/03/1998 - Fotocomposizione: LimprontaGrafica Milano - Stampa: Grafica Briantea srl - Usmate (MI)