**PRESS RELEASE**

05 October 2022 09:00 BST/GMT

**Alexion annuncia l’approvazione di eculizumab** **in Italia negli adulti con Disturbo dello Spettro della Neuromielite Ottica (NMOSD)**

Il 97,9%, 96,4% e 96,4% dei pazienti positivi agli anticorpi AQP4 trattati con eculizumab erano liberi da recidiva a 48, 96 e 144 settimane rispetto al 63,2%, 51,9% e 45,4% con placebo1

5 ottobre 2022 – Alexion Pharma Italy, il Gruppo Rare Disease di AstraZeneca, annuncia oggi che l’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha approvato la rimborsabilità di eculizumab, un inibitore del complemento C5, come trattamento di seconda linea, in seguito a rituximab, nei pazienti adulti con NMOSD positivi agli anticorpi anti-acquaporina 4 (AQP4) con storia clinica di almeno una recidiva negli ultimi 12 mesi. L’approvazione è stata pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale n.210.2

La NMOSD è una grave malattia autoimmune rara, che interessa il sistema nervoso centrale (CNS), compresi il midollo spinale e i nervi ottici.3,4 La maggior parte delle persone colpite da NMOSD presenta spesso recidive imprevedibili, una nuova insorgenza di sintomi neurologici o il peggioramento di quelli già esistenti, chiamati anche attacchi, che tendono a diventare gravi e ricorrenti e possono portare alla disabilità permanente.4 Sulla based dei dati epidemiologici mondiali, si stima che in Italia la NMOSD colpisca oltre 1.000 persone, con più di 100 nuove diagnosi all’anno.5

“È cruciale riuscire a diagnosticare questa patologia il prima possibile per poter evitare le recidive – sottolinea il **Prof. Claudio Gasperini, Direttore UOC di Neurologia e Neurofisiopatologia, San Camillo Forlanini** di Roma. Così possiamo limitare la morbilità, la mortalità e il rischio di progressione della disabilità. A seconda del distretto corporeo colpito, fin dall’esordio la NMOSD può determinare perdita della vista e importanti difficoltà nella deambulazione fino a paralisi. Se non viene trattata, nelle forme severe può causare grave insufficienza respiratoria con aumentato rischio di mortalità4. Grazie ad un apposito test sierologico e al ricorso alla risonanza magnetica, possiamo nel giro di pochi mesi arrivare ad una corretta diagnosi."

“Le persone che vivono con NMOSD soffrono di attacchi gravi e debilitanti che impattano in maniera devastante la loro vita e quella dei loro familiari. Nel passato questa malattia non è stata riconosciuta e spesso è stata confusa con la sclerosi multipla: oggi non devono più esserci testimonianze di diagnosi ritardata perché diagnosi precoce significa terapia efficace precoce". – continua il **Prof. Mario Alberto Battaglia, Presidente della Fondazione Italiana Sclerosi Multipla (FISM)**. “L’NMOSD richiede una accurata gestione all’interno di centri per l’assistenza per i pazienti con sclerosi multipla, con un approccio terapeutico mirato, che deve avere come obiettivo il blocco della progressione della malattia. Solo queste strutture sanitarie possiedono il giusto expertise nella gestione di patologie neurologiche recidivanti come il disturbo dello spettro della neuromielite ottica. Infatti nonostante gli indubbi successi degli ultimi anni, l’NMOSD presenta ancora prognosi molto severe e necessita di un monitoraggio attento. È dunque fondamentale – e per questo la nostra attività di advocacy verso le istituzioni - il riconoscimento formale e la strutturazione di una Rete a livello nazionale e regionale, con copertura dell’intero territorio e reale prossimità superando le difformità e le iniquità e diseguaglianze di accesso. Da parte della Fondazione abbiamo da sempre l’impegno al finanziamento della ricerca scientifica e l’estensione del Registro Italiano Sclerosi Multipla alle patologie correlate, come l’NMSOD, quale strumento di ricerca, monitoraggio delle terapie e di sanità pubblica"

“La NMOSD colpisce soprattutto donne, con un’età media di circa 40 anni, sottolinea il **Prof. Francesco Saverio Mennini, Presidente della Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA)**. Si tratta di persone nel pieno della loro vita e, per questo motivo, al momento siamo impegnati nel raccogliere dati per approfondire quale impatto la patologia determina sulla loro vita lavorativa e sociale. Pensiamo, ad esempio, cosa significhi perdere la vista per una donna che lavora, con figli e una famiglia. Rappresentare i costi diretti e indiretti (perdita di produttività in primis) e, soprattutto, quelli evitati da una terapia efficace è fondamentale per inserire nel contesto del sistema paese una soluzione terapeutica per una patologia così rara e severa”.

“Siamo orgogliosi di offrire eculizumab ai pazienti italiani affetti da NMOSD. Grazie alla collaborazione con AIFA, abbiamo raggiunto questo traguardo che rappresenta per noi la realizzazione di ciò per cui lavoriamo ogni giorno: trasformare la vita delle persone affette da malattie rare e disturbi invalidanti”, afferma **Anna** **Chiara Rossi, VP & General Manager Italy, Alexion, AstraZeneca Rare Disease**. “Con questo presupposto, siamo desiderosi e motivati a fornire una nuova opzione terapeutica che possa aiutare le persone affette da NMOSD a raggiungere il prossimo obiettivo, una sostanziale riduzione del rischio di recidiva.”

**Note**

**Il Disturbo dello Spettro della Neuromielite Ottica (NMOSD)**

NMOSD è una malattia rara in cui il sistema immunitario si attiva in modo inappropriato per colpire i tessuti e le cellule sane del sistema nervoso centrale.3,6 Circa tre quarti della popolazione colpita da NMOSD è positiva all’anticorpo anti-acquaporina 4 (AQP4), nel senso che produce gli anticorpi che si legano a una particolare proteina, l’acquaporina-4 (AQP4)3,6. Questo legame può attivare in modo inappropriato il sistema del complemento, che fa parte del sistema immunitario ed è fondamentale per la difesa del corpo dalle infezioni, a distruggere le cellule del nervo ottico, del midollo osseo e del cervello.6Colpisce più comunemente le donne e si presenta intorno ai 30 anni. Le persone affette da NMOSD possono avere problemi di visione, dolore intenso, perdita delle funzioni vescica/intestino, sensazioni cutanee anomale (ad es. formicolio, sensibilità al caldo/freddo) e problemi di coordinazione e/o di movimento.3 La maggior parte delle persone colpite da NMOSD presenta ricadute imprevedibili, conosciute come attacchi.Ogni ricaduta può comportare una disabilità cumulativa che comprende la perdita della vista, la paralisi e talvolta la morte prematura3,4.La NMOSD è una patologia distinta da altre malattie del SNC, tra cui la sclerosi multipla. Il percorso verso la diagnosi può essere lungo e talvolta la malattia viene diagnosticata in modo errato.7

**Informazioni su Alexion**

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, è dedicata alle malattie rare, ed è stata creata in seguito all'acquisizione nel 2021 di Alexion Pharmaceuticals, Inc. In qualità di leader nel campo delle malattie rare da circa 30 anni, Alexion è impegnata nella ricerca, sviluppo e distribuzione di terapie innovative capaci di trasformare la vita dei pazienti con malattie rare e disturbi invalidanti e quella delle loro famiglie. Alexion concentra il suo impegno nella ricerca di nuove molecole e di nuovi target nel sistema del complemento, nonché nello sviluppo di aree terapeutiche fondamentali quali l’ematologia, la nefrologia, la neurologia, i disturbi metabolici, la cardiologia e l’oftalmologia. Con sede a Boston, Massachusetts, Alexion ha uffici in tutto il mondo e serve pazienti in più di 50 Paesi. Per informazioni: <https://alexion.com/worldwide/Italy>

I**nformazioni su AstraZeneca**

AstraZeneca è un’azienda biofarmaceutica globale impegnata nella ricerca, nello sviluppo e nella commercializzazione di farmaci etici. Ci concentriamo sulla ricerca e puntiamo a essere leader in diverse aree terapeutiche: Oncologia, Malattie rare, Cardiovascolare, Metabolico e Renale, Respiratorio e Immunologico, Infettivologia. In Italia AstraZeneca conta oltre 850 dipendenti e ha investito nel 2021 26,4 milioni di euro in Ricerca e Sviluppo, con più di 100 studi clinici attivi in oltre 500 centri su tutto il territorio nazionale. Per informazioni [www.astrazeneca.it](https://protect-us.mimecast.com/s/3NuFCOYpyVS1XQRTvyEjs?domain=astrazeneca.it/) e su [LinkedIn](https://protect-us.mimecast.com/s/0kARCPNqZXSzmVGc1MyCW?domain=linkedin.com/).

***Note bibliografiche***

*1. Pittock SJ et al. N Engl J Med 2019; 381:614-625*

*2. N° 596/2022, Official Gazzette n° 210, date: 8/9/2022*

*3. Wingerchuk DM and Lucchinetti CF. N Engl J Med 2022;387:631-9.4. Wingerchuk DM, Weinshenker BG. Neurology. 2003 Mar 11;60(5):848-53.*

*5. Hor JY et al. Front Neurol. 2020; 11: 501.*

*6. Carnero Contentti and Correale. Journal of Neuroinflammation (2021) 18:208*

*7. Szewczyk AK et al. Brain Sci. 2022 Jul 6;12(7):885.*