**PRESS RELEASE**

**La novità viene presentata oggi da Alexion Pharma Italy srl in conferenza stampa**

**L’AGENZIA DEL FARMACO APPROVA LA RIMBORSABILITA’ PER RAVULIZUMAB NEL TRATTAMENTO DELLA SINDROME EMOLITICO-UREMICA ATIPICA CHE COLPISCE OLTRE 600 PAZIENTI IN ITALIA**

***La terapia ha dimostrato una maggiore durata d’azione rispetto al trattamento standard con eculizumab.   
Grazie ad una frequenza di somministrazione inferiore, il nuovo anticorpo migliora la qualità di vita di tutti i pazienti (sia adulti che bambini) colpiti da questa malattia rara che danneggia le pareti dei vasi sanguigni***

*16 maggio 2023* – Alexion, AstraZeneca Rare Disease annuncia oggi che L’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha approvato la rimborsabilità di ravulizumab per il trattamento della sindrome emolitico-uremica atipica. La terapia è un inibitore della proteina C5 del complemento e potrà essere prescritta ai pazienti (adulti o bambini) sia naïve, agli inibitori del complemento, che già trattati con eculizumab (per almeno 3 mesi e che hanno evidenziato una risposta alla cura).

La sindrome emolitico-uremica atipica è una malattia rara che colpisce più di 600 pazienti in tutta la Penisola. Si caratterizza dall’attivazione cronica e incontrollata del sistema del complemento, un componente del sistema immunitario. “Questa anomalia – spiega **Gaetano La Manna**, Professore Ordinario di Nefrologia presso l’Università di Bologna e Direttore della UO di Nefrologia Dialisi e Trapianto al Policlinico di Sant’Orsola di Bologna - porta ad uno stato di infiammazione cronica che causa il danneggiamento delle pareti dei vasi sanguigni. Ciò comporta un accumulo di piastrine e leucociti che aumenta enormemente il rischio di formazione di trombi. Il primo organo ad essere danneggiato, di solito, è il rene ma i danni possono estendersi a cuore, polmoni, cervello e sistema gastro-intestinale”. Circa il 50% dei pazienti affetti dalla sindrome necessita di dialisi, soffre di danno renale permanente o va incontro a decesso entro il primo anno. Pur essendo una patologia su base genetica per il 50-70% dei casi (i geni coinvolti sono CHF, CHF3R, MCP, CFI, CFB E CR), per scatenarsi con sintomi evidenti è spesso necessario un evento, tecnicamente chiamato “trigger”, come ad esempio la gravidanza, l’ipertensione maligna, un trapianto d’organo, una malattia renale, una patologia autoimmune, un tumore, un’infezione o l’abuso di alcuni farmaci. In passato per gestirla si ricorreva allo scambio o all’infusione di plasma ma questa strategia non si è mai dimostrata realmente efficace. “Oggi l’obiettivo primario del trattamento della sindrome consiste nello “spegnimento” del sistema del complemento ed in particolare della proteina C5 - aggiunge **Gaetano La Manna** -. Per farlo, sino ad oggi si procedeva alla somministrazione di eculizumab, un anticorpo monoclonale umanizzato inibitore del complemento in grado di bloccare C5. Ora, grazie a ravulizumab, la cura della sindrome compie un ulteriore passo in avanti. La terapia non solo modifica radicalmente la storia naturale della malattia ma migliora sensibilmente la qualità di vita dei malati e dei loro famigliari”.

L’anticorpo approvato da AIFA è stato sperimentato in due studi clinici di fase 3 multicentrici. Il primo a braccio singolo ha coinvolto pazienti adulti naive. Il secondo, condotto su malati in età pediatrica, è stato sviluppato a doppio braccio coinvolgendo sia pazienti naïve che pazienti già in trattamento con inibitori del complemento. La nuova terapia ha dimostrato un’inibizione immediata, completa e sostenuta di C5 in tutti i pazienti. In particolare, è stata valutata l’efficacia di ravulizumab in termini di risposta al trattamento della microangiopatia trombotica che rappresenta la manifestazione clinica più evidente della malattia. “Negli adulti trattati con ravulizumab, il 53% ha avuto una risposta completa alla microangiopatia trombotica nel periodo iniziale di valutazione, pari a 26 settimane, e il 61% nei primi dodici mesi - spiega **Giuseppe Castellano**, Direttore di Struttura Complessa Professore Associato di Nefrologia all'Università degli Studi di Milano -. Ravulizumab nella popolazione pediatrica ha raggiunto il tasso di risposta completa del 94,4% e il 100% hanno interrotto la dialisi”.

La sindrome emolitico-uremica atipica, presentandosi spesso in forma acuta e colpendo sia adulti che bambini, compromette significativamente la qualità di vita e la gestione della malattia condiziona la quotidianità delle persone con SEUa e delle loro famiglie. “I benefici dell’allungamento del tempo tra un’infusione e l’altra sono importanti - afferma **Paolo Chiandotto**, Presidente Associazione Pazienti Progetto Alice Associazione per la lotta alla SEU -. Innanzitutto, questo significa recarsi meno volte in ospedale. Negli adulti occupati vuol dire perdere meno ore di lavoro, e la stessa cosa vale per i genitori dei piccoli affetti da malattia. Nei bambini, che fortunatamente sono una piccola percentuale, inoltre questo significa perdere meno giorni di scuola. Nel complesso questi vantaggi si traducono in un maggiore benessere generale poiché ci si sente meno “legati” all’ospedale. Infine, dato da non trascurare, minori somministrazioni significano minori costi per gli spostamenti da e verso il centro di cura, costi interamente a carico della persona affetta. È importante che l’innovazione terapeutica vada anche in questa direzione, consentendo che le esigenze della persona entrino organicamente nella gestione della malattia, ed è altrettando importante che la sostenibilità del percorso di cura, soprattutto in malattie croniche, sia un obiettivo comune di tutti gli interlocutori del Sistema Salute.”.

“Sin dalla nostra nascita - conclude **Anna Chiara Rossi**, VP& General Manager Italy presso Alexion, AstraZeneca Rare Disease - il nostro obiettivo di ricerca è quello di sviluppare terapie innovative capaci di migliorare sensibilmente la qualità di vita delle persone con malattie rare e dei loro familiari. Tutto ciò è stato possibile grazie alla collaborazione e allo scambio continuo delle esperienze con i pazienti e con i clinici. Essere riusciti a realizzare un anticorpo in grado di migliorare ulteriormente sia il trattamento sia la quotidianità delle persone è per noi motivo di grande orgoglio”.

**Informazioni sulla sindrome emolitico-uremica atipica (SEUa)**

La SEU atipica è una malattia rara che può causare danni progressivi agli organi vitali, principalmente ai reni, attraverso danni alle pareti dei vasi sanguigni e coaguli di sangue. La SEU atipica si verifica quando il sistema del complemento, una parte del sistema immunitario, risponde in modo eccessivo, portando il corpo ad attaccare le proprie cellule sane. La SEU atipica può causare un'improvvisa insufficienza d'organo o una lenta perdita di funzionalità nel tempo, con potenziale conseguente necessità di un trapianto e, in alcuni casi, morte. La SEU atipica colpisce sia gli adulti che i bambini e molti pazienti si presentano in condizioni critiche, spesso richiedendo cure di supporto, inclusa la dialisi, in un'unità di terapia intensiva. La prognosi della SEUa può essere sfavorevole in molti casi, quindi una diagnosi tempestiva e accurata, oltre al trattamento, è fondamentale per migliorare i risultati del paziente. I test disponibili possono aiutare a distinguere la SEUa da altre malattie emolitiche con sintomi simili.

**A proposito di ravulizumab**

Ravulizumab, il primo e unico inibitore del complemento C5 a lunga durata d'azione, offre immediata, completa e prolungata inibizione del complemento. Il farmaco agisce inibendo la proteina C5 nella cascata del complemento terminale, una parte del sistema immunitario del corpo. Quando attivato in un modo incontrollato, la cascata del complemento risponde in modo eccessivo, portando il corpo ad attaccare il proprio cellule sane. Ravulizumab viene somministrato per via endovenosa ogni 8 settimane nei pazienti adulti, in seguito una dose di carico.

Ravulizumab è approvato negli Stati Uniti, nell'UE e in Giappone per il trattamento di alcuni adulti con gMG.

Ravulizumab è inoltre approvato negli Stati Uniti, nell'UE e in Giappone per il trattamento di alcuni adulti affetti da EPN e per alcuni bambini affetti da EPN negli Stati Uniti e nell'UE.

Inoltre, Ravulizumab è approvato negli Stati Uniti, nell'UE e in Giappone per determinati adulti e bambini con SEUa per inibire la microangiopatia trombotica mediata dal complemento.

Ravulizumab è approvato nell’UE per il trattamento di alcuni adulti con Spettro dei Disordini della Neuromielite Ottica (NMOSD).

L’utilizzo di ravulizumab come terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento di pazienti adulti affetti da MGg e positivi agli anticorpi anti-recettore dell’acetilcolina (AChR), è autorizzato a livello europeo ma non rimborsato in Italia.

L’utilizzo di ravulizumab come terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento di pazienti adulti affetti da NMOSD positivi agli anticorpi (Ab+) per l’anti-acquaporina-4 (AQP4), è autorizzato a livello europeo ma non rimborsato in Italia.

Nell'ambito di un ampio programma di sviluppo, ravulizumab è in fase di valutazione per il trattamento di ulteriori indicazioni ematologiche e neurologiche.

**A proposito di Alexion, AstraZeneca Rare Disease**

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, è il gruppo AstraZeneca focalizzato sulle malattie rare, creato in seguito all'acquisizione nel 2021 di Alexion Pharmaceuticals, Inc. In qualità di leader nelle malattie rare da 30 anni, Alexion si concentra sul servire i pazienti e le famiglie colpite da malattie rare e condizioni devastanti attraverso la scoperta, lo sviluppo e la commercializzazione di farmaci che cambiano la vita. Alexion concentra i suoi sforzi di ricerca su nuove molecole e bersagli nella cascata del complemento e i suoi sforzi di sviluppo su ematologia, nefrologia, neurologia, disordini metabolici, cardiologia e oftalmologia. Con sede a Boston, Massachusetts, Alexion ha uffici in tutto il mondo e serve pazienti in più di 50 paesi.

**Ufficio stampa**

Intermedia

[intermedia@intermedianews.it](mailto:intermedia@intermedianews.it)

030.226105 – 335265394 - 3888896214