

SOPRAVVIVERE ALLE MIELODISPLASIE

Azacitidina è il primo e unico principio attivo approvato dall'Fda a poter vantare i dati di sopravvivenza globale raggiunti nello studio AZA-001 in pazienti con sindrome mielodisplastica ad alto rischio. Il beneficio mostrato dal farmaco, che agisce sulla causa della patologia piuttosto che semplicemente sul controllo dei sintomi, è particolarmente importante per questi pazienti, la cui malattia può evolvere rapidamente in forme leucemiche acute. Il prossimo passo è renderlo disponibile nel nostro Paese, essendo questi pazienti spesso privi di valide alternative terapeutiche in grado di aumentarne in maniera significativa la sopravvivenza.

Le sindromi mielodisplastiche (Smd) sono un gruppo di neoplasie ematologiche maligne che colpiscono circa 300.000 persone a livello mondiale: le cellule ematiche restano immature, ovvero nella fase di blasti, e non si sviluppano mai in cellule mature in grado di espletare le necessarie funzioni cui

sono preposte. Nel tempo, il midollo osseo può riempirsi di blasti, con soppressione del normale sviluppo cellulare. Per i pazienti affetti da Smd, che spesso dipendono dalle trasfusioni di sangue per il controllo dei sintomi dell'anemia e per questo possono sviluppare sovraccarico di ferro e tossicità, la durata media di sopravvivenza è pari a soli 6-12 mesi. L'antitumorale azacitidina permette di raggiungere una percentuale di indipendenza da trasfusioni superiore al 40 per cento, con riduzione di infezioni e ricoveri ospedalieri. La sopravvivenza globale media nei pazienti trattati con azacitidina è risultata pari a 24,5 mesi rispetto ai 15 mesi ottenuti con regimi di terapia convenzionali, con un beneficio statisticamente significativo di oltre nove mesi. Il tasso di sopravvivenza a due anni è quasi raddoppiato: raggiunge il 50,8 per cento rispetto al 26,2 per cento ottenuto con le terapie tradizionali.



TERAPIA INNOVATIVA PER L'ARTRITE REUMATOIDE

Nuovi dati dimostrano che tocilizumab inibisce la progressione del danno articolare e migliora la funzionalità fisica dei pazienti affetti da artrite reumatoide. Si stima che questa malattia autoimmune progressiva, caratterizzata dall'infiammazione della membrana che riveste tutte le articolazioni, colpisca oltre 21 milioni di persone in tutto il mondo. L'infiammazione causa deformazione dell'articolazione e ne danneggia la funzionalità, con dolore, rigidità e gonfiore, fino alla sua distruzione irreversibile e all'invalidità. Inoltre, i sintomi sistemici dell'AR comprendono anemia e osteoporosi e possono contribuire a ridurre l'aspettativa di vita. Dopo 10 anni, meno del 50 per cento dei pazienti mantiene un'attività lavorativa o svolge le normali mansioni quotidiane. Tocilizumab è il primo di una nuova classe di farmaci che dà una speranza concreta ai malati di AR. Si tratta di un anticorpo monoclonale umanizzato, inibitore del recettore dell'interleuchina-6, importante fattore scatenante il processo infiammatorio. Una maggiore percentuale di pazienti trattati con tocilizumab, associato a un farmaco comunemente usato, il metotressato (Mtx), hanno beneficiato di una significativa inibizione del danno strutturale nel corso di 12 mesi di terapia, in confronto a pazienti trattati con il solo Mtx (47 per cento vs 8 per cento). «Il trattamento con tocilizumab ha inibito il danno strutturale alle articolazioni», ha dichiarato il dottor Joel Kremer, sperimentatore principale dello studio Lithe, che ha coinvolto 15 Paesi per un totale di 1.196 pazienti e direttore della ricerca presso il centro di Reumatologia di Albany, New York. «È fondamentale arrestare il danno articolare il più precocemente possibile, per evitare deformità alle articolazioni e aiutare i pazienti a mantenere la propria qualità di vita».

ENTECAVIR ED EPATITE B

Una molecola di nuova generazione ha dimostrato di essere in grado di ridurre i danni a carico del fegato nel 96 per cento dei pazienti colpiti da epatite B cronica. La percezione della gravità della malattia è ancora scarsa: nel mondo vi sono circa 400 milioni di portatori cronici del virus e si stima che dei 700 mila malati in Italia solo ventimila siano in terapia. Se non trattata, l'epatite B cronica evolve in cirrosi nel 10-20 per cento dei casi e in quasi la metà di questi si verifica il decesso per insufficienza epatica o epatocarcinoma.

Dopo sei anni di somministrazione, Entecavir, antiretrovirale orale disponibile sul mercato italiano da oltre un anno, è stato associato alla riduzione dell'infiammazione epatica e della fibrosi, secondo i risultati dello stu-

dio ETV-901. Entecavir unisce la potenza d'azione all'alta barriera genetica: il virus deve sviluppare almeno tre mutazioni per sfuggirne l'effetto. Nell'ambito di questo studio sono stati valutati i risultati istologici a lungo termine in 57 persone. I dati sono interessanti: nel 96 per cento dei pazienti sono stati evidenziati miglioramenti nell'istologia epatica; nell'88 per cento si è manifestata la riduzione della fibrosi epatica (formazione di tessuto cicatriziale come reazione a un'infiammazione, che può essere causata dall'epatite B cronica). Il controllo della replicazione virale è un marker fondamentale nel trattamento dell'epatite B cronica: dalle biopsie epatiche di controllo è emerso che la totalità dei pazienti aveva una carica virale non rilevabile.