



Primo Piano - Sma, Aifa: deceduti due bambini curati con il farmaco Zolgensma

Roma - 16 feb 2023 (Prima Notizia 24) **Hanno avuto un'insufficienza epatica acuta, che si è rivelata fatale. Secondo l'Agenzia, il meccanismo è "probabilmente correlato a una risposta immunitaria innata e/o adattativa al vettore".**

Due bambini di 4 e 28 mesi affetti da atrofia muscolare spinale (Sma) sono morti per un'insufficienza epatica acuta nel corso del trattamento con il farmaco Zolgensma, la prima terapia genica contro la Sma approvata dall'Agenzia nel 2021 e gratuita per i bambini affetti da questa forma di distrofia muscolare e sotto i 13,5 kg di peso. E' quanto fa sapere la stessa Aifa in una nota divulgata tramite il proprio sito web. Attualmente, sono quasi 3.000 i pazienti curati con questo trattamento, prodotto dalla Novartis Gene Therapies, il cui costo è alto. I bambini sono morti dopo una somministrazione di circa 6-7 settimane. L'Agenzia del Farmaco ha spiegato che l'hepatossicità (cioè la tossicità per il fegato) associata a questo farmaco compare spesso sotto forma di aumento delle aminotranferasi o di un'anomala funzionalità epatica, ma sono stati registrati anche danni epatici gravi o casi di insufficienza epatica acuta, anche con risvolti mortali. Questo, evidenzia l'Aifa, è "probabilmente correlato a una risposta immunitaria innata e/o adattativa al vettore". L'Agenzia, dunque, raccomanda una profilassi con corticosteroidi e di monitorare il funzionamento del fegato per almeno 3 mesi dopo l'assunzione del farmaco, includendo, quindi, anche il monitoraggio settimanale per il primo mese e nella graduale riduzione di corticosteroidi, per poi continuare con un monitoraggio ogni due settimane per un altro mese e ogni volta che sia necessario, se clinicamente indicato. Inoltre, chi mostri sintomi di disfunzione epatica deve essere sottoposto ad esame per danno epatico, mentre qualora non ci siano risposte efficaci ai corticosteroidi, bisogna interpellare un gastroenterologo o un epatologo pediatrici. Il farmaco, sottolinea l'Aifa, "è sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Agli operatori sanitari è richiesto di segnalare qualsiasi reazione avversa sospetta". La Novartis Gene Therapies, in una nota, ha fatto sapere "crede fermamente nel profilo rischi-benefici complessivamente favorevole di onasemnogene abeparvovec" (Zolgensma), puntualizzando che il farmaco ha ricevuto l'autorizzazione dall'Ema tramite procedura centralizzata.

(Prima Notizia 24) Giovedì 16 Febbraio 2023