COMUNICATO STAMPA del 4 dicembre 2018

MALATTIE IMMUNITARIE: IL FARMACO SALVA-VITA PER I BAMBINI CON HLH

Emapalumab approvato da FDA. La sperimentazione coordinata in Europa dall'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, che ha presentato i risultati negli Stati Uniti, a San Diego, al congresso dell'American Society of Hematology.

È il farmaco che tiene in vita, in attesa del trapianto, i bambini con HLH, una malattia genetica ultra-rara che lascia poche speranze a chi non trova in tempi rapidi un donatore di midollo osseo utilmente impiegabile.

Dopo una sperimentazione condotta a livello internazionale e coordinata in Europa dall'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, è arrivata ora l'approvazione della FDA, l'ente statunitense per la regolamentazione dei farmaci, che ne ha verificato la sicurezza e l'efficacia.

I risultati di questa sperimentazione sono stati presentati oggi negli Stati Uniti dal Professor Locatelli del Bambino Gesù al congresso dell'*American Society of Hematology* (ASH), il più grande meeting mondiale dedicato alle malattie del sangue.

Il 70% dei bambini trattati con il farmaco sperimentale ha registrato miglioramenti sostanziali della propria condizione clinica. La maggior parte dei bambini non aveva risposto positivamente ai trattamenti convenzionali.

LA MALATTIA

La Linfoistiocitosi Emofagocitica primaria, nota come HLH (*Hemophagocytic Lympho-Histiocytosis*), è una rarissima patologia ereditaria del sistema immunitario che colpisce circa 2 bambini ogni 100.00 nuovi nati e non lascia speranze se non quella di un trapianto di cellule staminali emopoietiche, prima del quale è necessario eseguire una terapia medica che ha lo scopo di controllare l'esasperata risposta infiammatoria che caratterizza questa malattia. In assenza di terapia, questa malattia è fatale in poche settimane; con le cure attuali, l'andamento dei pazienti si connota per circa un esito sfavorevole in circa il 40% dei casi.

Nei bambini colpiti da questa patologia si riscontrano frequentemente mutazioni in geni che regolano la capacità di cellule del sistema immunitario (T linfociti e cellule *Natural Killer*) di uccidere cellule bersaglio, quali per esempio, cellule infettate da virus. La HLH primaria si manifesta prevalentemente nella prima infanzia, ma sono descritti casi di HLH anche in bambini dell'età scolare e, assai più raramente, anche casi diagnosticati nell'adolescenza o nell'adulto.

IL FARMACO

Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS
Ufficio stampa e Coordinamento editoriale
Responsabile: Alessandro Iapino
Funzione Comunicazione
web: http://www.ospedalebambinogesu.it

Piazza Sant'Onofrio, 4 - 00165 Roma
Tel. +39 06 6859 2612
Mobile +39 335 7900456
mail: ufficiostampa@opbg.net

Per contenere adeguatamente l'evoluzione di questa malattia e consentire ai medici di avere più tempo per identificare un donatore con il quale realizzare il trapianto, esiste un farmaco sperimentale messo a punto da Novimmune, un'azienda di biotecnologie svizzera - il primo farmaco target e sviluppato specificatamente per la cura dell'HLH - che è giunto ora finalmente all'approvazione ufficiale da parte della *Food and Drug Administration* (FDA), l'agenzia americana che regolamenta l'utilizzo dei farmaci.

Si tratta di un anticorpo monoclonale (emapalumab) diretto contro una molecola (interferone-gamma) che gioca un ruolo chiave nel regolare la nostra risposta immunitaria e che viene prodotta in eccesso nei pazienti con HLH. La somministrazione di emapalumab è in grado di "spegnere" l'anormale ed eccessiva risposta infiammatoria nei pazienti con HLH, neutralizzando gli effetti derivanti dall'eccessiva produzione di interferone-gamma. Grazie a emapalumab, la terapia dell'HLH sarà ora molto più mirata e precisa, evitando gli effetti collaterali associati all'impiego di alte dosi di cortisone e di farmaci chemioterapici, che, fino ad oggi rappresentavano la terapia standard dell'HLH.

Il farmaco ha avuto un'efficacia addirittura superiore a quanto ipotizzato: si è mostrato efficace nel 70% dei bambini contro una previsione del 40%. Molti partecipanti hanno fatto registrare la scomparsa della febbre dopo alcuni giorni di trattamento e un netto miglioramento degli altri sintomi entro la fine dello studio.

L'efficacia è stata testata nella forma "primaria" (cioè congenita, ereditaria) di questa patologia, che si manifesta prevalentemente in età infantile, ma che conosce anche una sua forma "secondaria", frequentemente manifestantesi anche nel paziente adulto, e presente nel contesto di malattie reumatiche, infezioni e cancro.

LA SPERIMENTAZIONE

La sperimentazione del nuovo farmaco contro l'HLH primaria è stata coordinata in Europa dall'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù e negli Stati Uniti dal *Children's Hospital Medical Center* di Cincinnati. Trentaquattro i pazienti arruolati - la maggior parte aveva meno di 12 mesi - e 21 i Centri coinvolti.

IL CONGRESSO ASH

I dati relativi alla sicurezza e all'efficacia di Emapalumab, che hanno portato FDA all'approvazione del Farmaco nelle HLH primarie, sono stati presentati a San Diego dal Prof. Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Oncoematologia e Terapie Cellulari del Bambino Gesù, in occasione del 60esimo meeting annuale dell'*American Society of Hematology*, il più grande congresso mondiale dedicato alle patologie del sangue, che coinvolge migliaia di oncologi ed ematologi del bambino e dell'adulto.

La sperimentazione coordinata dall'Ospedale della Santa Sede è stata selezionata per la sua rilevanza tra le ricerche da mettere in maggiore evidenza.

LE PROSPETTIVE

Emapalumab ha potenziale efficacia terapeutica anche nelle forme secondarie di HLH ed è già in corso una sperimentazione nei pazienti pediatrici che sviluppano quella forma di HLH chiamata anche MAS (*macrophage activating syndrome*) nel contesto dell'artrite idiopatica giovanile sistemica o di altre malattie reumatiche del bambino. Anche questa sperimentazione è coordinata dall'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, dal Dr. Fabrizio De Benedetti, responsabile dell'Unità Operativa di Reumatologia.

Ospedale Pediatrico Bambino Gesù - IRCCS
Ufficio stampa e Coordinamento editoriale
Responsabile: Alessandro Iapino
Funzione Comunicazione
web: http://www.ospedalebambinogesu.it

Piazza Sant'Onofrio, 4 - 00165 Roma
Tel. +39 06 6859 2612
Mobile +39 335 7900456
mail: ufficiostampa@opbg.net