



FDA approva nuovo trattamento per l'Emofilia A

Data 12 giugno 2014
Categoria Clinica

La US Food and Drug Administration ha approvato un nuovo farmaco, fattore antiemofilo (ricombinante), proteina di fusione Fc, per adulti e bambini affetti da emofilia A.

Si tratta del primo farmaco per il trattamento dell'Emofilia A che richiede iniezioni meno frequenti, quando utilizzato per prevenire o ridurre la frequenza del sanguinamento.

Il farmaco è stato approvato per aiutare a controllare e a prevenire gli episodi emorragici, per gestire di sanguinamento durante gli interventi chirurgici e per prevenire o ridurre la frequenza degli episodi emorragici (profilassi). Il medicinale è composto della molecola di coagulazione Fattore VIII (storicamente conosciuta come Fattore Antiemofilo) collegata a un frammento della proteina Fc, che si trova negli anticorpi. Questo permette al farmaco di restare più a lungo nel sangue del paziente.

L'emofilia A è un disturbo della coagulazione ereditario, che colpisce principalmente i maschi, ed è causata da difetti nel gene del fattore VIII. Negli Stati Uniti l'emofilia A colpisce 1 uomo su 5.000. Le persone affette da questa patologia possono incorrere in ripetuti episodi di sanguinamento grave, soprattutto dalle articolazioni, che possono essere gravemente danneggiate a causa del sanguinamento.

La sicurezza e l'efficacia del farmaco sono state valutate in uno studio clinico che ha coinvolto 164 pazienti che ha confrontato il regime di trattamento profilattico con la terapia on-demand. Lo studio ha dimostrato l'efficacia del medicinale nel trattamento degli episodi emorragici, per prevenire o ridurre il sanguinamento e per il controllo del sanguinamento durante e dopo gli interventi chirurgici. Non sono stati identificati problemi di sicurezza.

Il farmaco ha ricevuto la designazione di farmaco orfano da parte della FDA, perché è indicato per il trattamento di una malattia rara.

Fonte: AIFA

Il comunicato FDA:

<http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm400167.htm>