

Malattie rare: si chiama Glybera il primo farmaco che corregge i grassi

Data: 11 aprile 2012 | Autore: Redazione



Roma 4 novembre 2012 -Malattie rare: si chiama Glybera il primo farmaco che corregge i grassi. Via libera dall'Ue alla commercializzazione del medicinale La commissione Europea ha dato il via libera per l'uso commerciale del primo farmaco che corregge un difetto genetico. Il medicinale si chiama Glybera e ha la sua applicazione per la terapia di una malattia rara nella quale il malato non ha un enzima che permette di digerire i grassi.

In uno o due soggetti su un milione il gene che codifica l'enzima non funziona e costringe il paziente ad una dieta con appena il 20% dei grassi necessari. Nei casi più gravi, per cui è stato approvato, i pazienti soffrono di pancreatiti ricorrenti.

Grazie all'approvazione del Glybera, i pazienti affetti da LPLD possono, per la prima volta, contare su un trattamento medico per questa patologia, tanto grave quanto complessa, ha affermato il professor John Kastelein del Dipartimento di Medicina Vascolare presso l'Academic Medical Center dell'Università di Amsterdam, nei Paesi Bassi. Il deficit della lipoproteina lipasi provoca attacchi ricorrenti di pancreatite acuta, e in molti pazienti determina l'insorgenza precoce di diabete e di complicanze cardiovascolari. Questa terapia inciderà notevolmente e in maniera positiva sulla vita di questi pazienti, che fino ad oggi potevano solo attenersi ad una dieta rigorosa per limitare la quantità di grassi ingerita. Contribuendo a normalizzare il metabolismo dei globuli di grasso, Glybera impedisce l'infiammazione del pancreas ed evita quindi il dolore, le

patologie correlate e, se somministrato abbastanza precocemente, anche le co-morbilità associate".

L'approvazione prevede che i pazienti vengano trattati con Glybera in centri d'eccellenza dedicati e da medici appositamente formati.[MORE]

Glybera è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da deficit familiare della lipoproteina lipasi (LPLD) che soffrono di attacchi di pancreatite gravi o ricorrenti, nonostante una dieta rigorosa a basso tenore di grassi. La diagnosi di LPLD deve essere confermata da un test genetico. Questo farmaco va somministrato esclusivamente ai pazienti con livelli rilevabili di proteina LPL.

La reazione avversa più comunemente riferita è il dolore alle estremità, che colpisce circa un terzo dei pazienti. Dati l'esiguo numero di pazienti e la dimensione delle coorti, le reazioni avverse osservate non forniscono un quadro completo circa la natura e la frequenza di tali eventi.

Per Giovanni D'Agata, fondatore dello "Sportello dei Diritti", l'approvazione definitiva di Glybera da parte della Commissione Europea segna un gran passo in avanti nel rendere disponibili terapie geniche non solo per il deficit della lipoproteina lipasi ma anche per innumerevoli malattie rare, caratterizzate da molte esigenze non soddisfatte in campo medico

giovanni d'agata alata da

Articolo scaricato da www.infooggi.it

<https://www.infooggi.it/articolo/malattie-rare-si-chiama-glybera-il-primo-farmaco-che-corregge-i-grassi/33055>