
Distrofia di Duchenne: associazioni chiedono a Commissione Ue e ad Ema rinnovo autorizzazione farmaco Translarna

Con una lettera alla Commissione europea e all'Ema-European Medicines Agency, le associazioni Uildm-Unione italiana lotta alla distrofia muscolare, Parent Project aps e Uniamo-Federazione italiana malattie rare chiedono di rivedere la decisione relativa al farmaco "Translarna" (Ataluren) per la distrofia muscolare di Duchenne. Il Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) ha dato parere negativo al rinnovo dell'autorizzazione condizionale. Tale decisione ha gettato nello sconforto centinaia di pazienti con questa patologia e le loro famiglie in tutta Europa che non potranno più beneficiare di un farmaco che per anni è stato l'unica opzione di trattamento per i pazienti con mutazione nonsense (nmDMD). "Secondo la comunità scientifica - segnalano le associazioni - dopo anni di utilizzo, Translarna è un farmaco con un elevato profilo di sicurezza, facile da usare nei bambini per la modalità di somministrazione, che consente un rallentamento della progressione della patologia come ampiamente documentato nel registro Stride". Il registro Stride include dati raccolti negli ultimi 5 anni e offre un'opportunità unica di osservare direttamente i benefici a lungo termine di Translarna nel ritardare la perdita della capacità di camminare. I dati mostrano un ritardo di 3,5 anni rispetto alla popolazione inclusa nel registro di storia naturale del Cinrg (Cooperative International Neuromuscular Research Group, ndr). "Translarna non è 'la cura', lo sappiamo bene - dichiarano i firmatari della lettera - ma ci permette di guadagnare tempo. E il tempo è fondamentale per i pazienti con nmDMD, poiché la malattia progredisce in assenza di trattamenti specifici. Il tempo guadagnato potrebbe consentire l'accesso a nuove terapie in arrivo. Con lo stop a Translarna alcuni bambini e adulti perderanno indubbiamente alcune capacità entro un anno o due. Mantenere la capacità di camminare non è l'unico obiettivo, i nostri ragazzi vogliono mantenere la libertà di svolgere le funzioni quotidiane, come usare un computer portatile, guidare una sedia a rotelle, nutrirsi da soli o andare in bagno".

Giovanna Pasqualin Traversa