
Malattie rare: associazioni, bene la rivalutazione del farmaco ataluren per la distrofia di Duchenne

La Commissione europea ha rinviato il parere negativo del Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) dell'Agencia europea per i medicinali (Ema) su Translarna™ (ataluren), l'unico farmaco per la distrofia muscolare di Duchenne con mutazione non-senso. L'azienda Ptc Therapeutics ha annunciato oggi la notizia, aggiungendo che la Commissione europea ha chiesto al Chmp di includere, nel processo di nuova valutazione che seguirà, anche tutti i dati raccolti nei Registri pazienti e i dati di vita reale. Inoltre, l'Ema ha informato Ptc che è stata presa la decisione di considerare non valide la riunione del gruppo consultivo scientifico per Translarna del 5 settembre 2023 e tutte le fasi procedurali che ne sono seguite. "È una grande vittoria per la comunità Duchenne e Becker italiana ed internazionale, che potrà continuare ad utilizzare il farmaco", dichiara Filippo Buccella, fondatore di Parent Project aps, l'associazione di pazienti con distrofia muscolare di Duchenne e Becker, grave patologia genetica rara e degenerativa. "Questa è la notizia che aspettavamo da molto tempo. È frutto di un lavoro condiviso tra associazioni, clinici e famiglie. Siamo molto felici di questo esito perché dà valore alla voce dei pazienti e delle famiglie che ogni giorno convivono con questa patologia. Tutta la nostra comunità è ben consapevole dell'importanza di questo risultato che pone in evidenza quanto sia importante lavorare sulla persona e sulla sua qualità della vita. Grazie a Translarna™ abbiamo uno strumento in più a disposizione", afferma Marco Rasconi, presidente nazionale Uildm-Unione italiana lotta alla distrofia muscolare. "La sinergia fra Parent Project, Uildm e Uniamo ha prodotto un ottimo risultato", sottolinea Annalisa Scopinaro, presidente di Uniamo - Federazione italiana malattie rare. Pur non essendo" procedure ancora strutturate adeguatamente - prosegue -, la richiesta della Commissione europea di far rivalutare ataluren con un occhio di riguardo ai dati riferiti dai pazienti e registrati in Stride è un passo importante per tutto il sistema. Anche i dossier dovranno essere meglio finalizzati a questo obiettivo, con raccolte mirate e strutturate in maniera scientifica. È importante lavorare in maniera sinergica per ottenere risultati".

Giovanna Pasqualin Traversa