
Salute: Ospedale Bambino Gesù, il farmaco emapalumab funziona contro la sindrome iperinfiammatoria Hlh

È il farmaco salva-vita per i bambini con Hlh (Linfoistocitosi emofagocitica primaria), una sindrome genetica ultra-rara che lascia poche speranze a chi non riesca ad arrivare in tempo al trapianto di cellule staminali emopoietiche. Si chiama emapalumab ed è stato sperimentato con successo in questi anni a livello internazionale su un numero selezionato di pazienti. I risultati di questo studio – coordinato in Europa dall'Ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma – sono stati pubblicati ora dal New England of Medicine. L'Hlh è una grave sindrome iperinfiammatoria che si presenta durante l'infanzia (2 bambini ogni 100mila nuovi nati), ma può manifestarsi anche negli adulti. È caratterizzata da una risposta infiammatoria incontrollata del sistema immunitario che può portare ad esito fatale e che trova attualmente nel trapianto di cellule staminali emopoietiche l'unica possibilità di guarigione definitiva. Il farmaco sperimentale, creato e messo a punto dall'azienda di biotecnologie Novimmune e successivamente preso in carico da Sobi, rappresenta il primo farmaco studiato specificatamente per l'Hlh primaria e si è mostrato in grado di bloccare l'iper-infiammazione e controllare le caratteristiche acute della malattia in oltre il 60% dei casi. Per il professor Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Onco-ematologia e terapia cellulare e genica del Bambino Gesù, coordinatore dello studio a livello europeo, "il nuovo farmaco rappresenta un prototipo di terapia molecolare mirata e un passo importante verso il miglioramento dei risultati per questa malattia genetica grave e pericolosa per la vita dei pazienti". Il suo utilizzo sperimentale è salito agli onori della cronaca per la prima volta a inizio 2019 in occasione della vicenda di Alex, il bimbo italiano trasferito dal Great Ormond Street di Londra al Bambino Gesù ove è stato definitivamente curato integrando l'uso di questo farmaco con un trapianto dal padre. Sono attualmente in corso studi clinici con emapalumab in altre condizioni.

Giovanna Pasqualin Traversa