

# Leucemia mieloide acuta, ok Aifa a rimborsabilità farmaco innovativo

03 maggio 2023 | 15.27

Redazione Adnkronos

LETTURA: 6 minuti



ORA IN

*Prima pagina*



Venetoclax con azacitidina in pazienti non idonei a chemioterapia standard aumenta sopravvivenza



Russia: "Attacco Kiev con droni al Cremlino, volevano colpire Putin"

Maltempo, emergenza in Emilia Romagna: due vittime - Video



Foto di repertorio - FOTOGRAMMA

Anemia, stanchezza, pallore, sanguinamenti ed ematomi, legati alla carenza di piastrine, e infezioni sono i principali sintomi della leucemia mieloide acuta, un tumore del sangue aggressivo che colpisce ogni anno in Italia circa 3.300 persone. Per i pazienti di nuova diagnosi non idonei alla chemioterapia intensiva standard, potenzialmente il 40% del totale, l'Aifa ha approvato la rimborsabilità di venetoclax in combinazione con un agente ipometilante (azacitidina). La molecola ha ricevuto da Aifa la designazione di innovatività piena, che consente l'inserimento nel Fondo dei farmaci innovativi. Riconoscimento riservato solo alle molecole che dimostrano, sulla base di solide evidenze scientifiche, di soddisfare importanti bisogni terapeutici e di apportare un valore terapeutico aggiunto, primo fra tutti, nel caso dei farmaci oncologici, l'aumento della sopravvivenza. Venetoclax in combinazione con azacitidina ha infatti dimostrato una sopravvivenza globale più lunga, tassi di remissione più elevati e risposte rapide e durature. È quanto emerge dalla conferenza stampa "Leucemia mieloide acuta: nuove prospettive nella gestione della malattia", promossa oggi a Roma.

"La leucemia mieloide acuta è una patologia ematologica aggressiva – afferma Maria Teresa Voso, professore ordinario di Ematologia all'Università **Tor Vergata** e responsabile del laboratorio di Diagnostica avanzata oncoematologica del **Policlinico Tor Vergata** - estremamente eterogenea, caratterizzata dalla proliferazione incontrollata di cellule immature del midollo osseo, i blasti, con uno sviluppo molto rapido. La diagnosi avviene di solito in seguito alla valutazione di anomalie dell'emocromo e viene confermata con indagini più specifiche che richiedono la valutazione del midollo osseo attraverso l'aspirato midollare. La maggioranza dei casi si

**Serbia, studente spara in una scuola di Belgrado: 9 morti**

---

**Ucraina, Zelensky a sorpresa a Helsinki**

---

**Incidente sul lavoro a Palermo, operaio cade in autocompattatore e muore**

---

#### ARTICOLI

### *in Evidenza*

---

*in Evidenza*

**Evanews, una nuova visione delle news europee**

*in Evidenza*

**Obiettivo ESG**

*in Evidenza*

**"Ascolta e vedrai"**

*in Evidenza*

**"Il futuro è Junior", al via la campagna di Junior Achievement Italia**

*in Evidenza*

**Sanpellegrino, nel 2022 generati 2,5 mld euro lungo filiera pari a 0,13% del Pil nazionale**

*in Evidenza*

**Vela, si rafforza partnership tra Arca Fondi Sgr e Fast and Furio per un 2023 all'insegna delle sfide**

*in Evidenza*

**"More - Museum of Restrictions", a Milano dal 3 al 7 maggio**

presenta in età avanzata e l'età media alla diagnosi è di 69 anni. I pazienti anziani o fragili, perché colpiti da altre patologie, non sono in grado di tollerare la chemioterapia intensiva standard, seguita dal trapianto allogenico di cellule staminali, se indicato. In questi casi, la terapia si basa su agenti ipometilanti che, però, hanno dimostrato di indurre basse percentuali di risposta, in non più del 20% dei casi, e una sopravvivenza intorno a 10-12 mesi".

"Venetoclax – continua Voso - induce l'apoptosi, la morte 'programmata' delle cellule della leucemia mieloide acuta, attraverso un'inibizione selettiva e potente di Bcl-2, una proteina che consente la sopravvivenza delle cellule tumorali. Venetoclax svolge, inoltre, un'attività sinergica con gli agenti ipometilanti, aumentando indirettamente la sensibilità all'inibizione di Bcl-2". Gli agenti ipometilanti interferiscono inoltre con altri meccanismi che determinano lo sviluppo della malattia, e prevengono la crescita di cellule anomale nel midollo osseo.

La sopravvivenza a 5 anni dalla diagnosi oggi è di circa il 28% - riporta una nota -. Le percentuali sono inferiori per coloro che non sono idonei alla chemioterapia intensiva, di cui solo il 5% è vivo a 5 anni. Nello studio registrativo Viale-A, condotto su oltre 400 pazienti con nuova diagnosi non idonei a chemioterapia intensiva, il trattamento in combinazione venetoclax più azacitidina si è dimostrato più efficace rispetto alla sola azacitidina. "La sopravvivenza globale mediana è stata di 14,7 mesi rispetto a 9,6 mesi – spiega Giovanni Martinelli, direttore scientifico dell'Istituto romagnolo per lo studio dei tumori Dino Amadori Irst Irccs Meldola - Il follow-up a lungo termine dello studio, a 43,2 mesi, ha confermato questo vantaggio in sopravvivenza, con una riduzione del rischio di morte del 42%. La remissione completa ottenuta con venetoclax più azacitidina è risultata due volte superiore (66%) rispetto alla sola azacitidina (28,3%). Da sottolineare che le risposte sono state rapide e durature. Infatti, circa la metà dei pazienti trattati con venetoclax più azacitidina ha ottenuto la remissione completa già prima dell'inizio del secondo ciclo, con una durata mediana della risposta di 17,5 mesi".

"Questi risultati - rimarca Martinelli - hanno un rilevante significato clinico: per la prima volta è possibile ottenere remissioni complete senza ricorrere alla chemioterapia. Inoltre, i dati sono stati confermati nella 'real life', cioè nella pratica clinica quotidiana, come evidenziato in uno studio tutto italiano, Avalon, su 190 pazienti. Con un follow-up di 20,9 mesi, la mediana di sopravvivenza è stata pari a 12,7 mesi nei pazienti di nuova diagnosi, simile a quella emersa da Viale-A. Avalon è la dimostrazione del ruolo dell'ematologia italiana nel migliorare l'aspettativa di vita dei pazienti colpiti da uno dei tumori del sangue più gravi".

"Più del 50% di questi pazienti ha un'età superiore a 65 anni e circa un terzo è over 75 – sottolinea Felicetto Ferrara, direttore Ematologia ospedale

in Evidenza

**Il tarassaco: appunti di salute su un foglio d'erba**

in Evidenza

**"Mare insicuro, Mare costoso" - GUARDA LA DIRETTA**

in Evidenza

**Forum del cibo. Dall'8 al 13 maggio Milano capofila nella promozione della politica alimentare**

in Evidenza

**Design, intesa tra Associazione Marchi Storici d'Italia e Adi**

in Evidenza

**Cresce la Second Hand Economy, vale 25 miliardi di euro**

in Evidenza

**Asma, dal concertone al via la campagna di sensibilizzazione 'Dunfiato'**

in Evidenza

**"Brand Italia, il Paese che si racconta"**

in Evidenza

**Confisal in piazza a Napoli per il Lavoro**

in Evidenza

**Aisla, da 40 anni a fianco dei malati di Sla**

in Evidenza

**BPER Banca e WWF Italia insieme per l'ambiente**

in Evidenza

**Malattia psoriasica, da Bari al via campagna di Novartis**

in Evidenza

**THEGATE2023, accessi i portali che collegano le città Capitale Italiana della Cultura**

in Evidenza

**Milano, social recruiting e candidate experience all'Employer branding forum 2023**

Cardarelli di Napoli -. La malattia nell'anziano ha caratteristiche prognostiche sfavorevoli rispetto al giovane-adulto perché più resistente alla chemioterapia. Da qui le difficoltà di ottenere in questa popolazione la remissione completa e una sopravvivenza a lungo termine. Grazie agli strumenti di 'early access', cioè di accesso precoce ai trattamenti, questa terapia innovativa è stata resa disponibile in Italia addirittura un anno prima dell'approvazione europea e tre prima della rimborsabilità nel nostro Paese”.

*in Evidenza***Con 'Uniti per le Marche' di Bper donati 205mila euro vittime alluvione**

"Aifa infatti – sottolinea Ferrara - nel marzo 2020, su richiesta della comunità scientifica e delle associazioni dei pazienti, ha inserito venetoclax nell'elenco dei farmaci erogabili a totale carico del Ssn ai sensi della legge n.648 del 1996, per il trattamento della leucemia mieloide acuta, in pazienti non idonei alla chemioterapia di induzione. In questo modo è stata offerta una possibilità di cura in una popolazione particolarmente delicata, per far fronte alla mancanza di alternative terapeutiche e rispondere a bisogni clinici insoddisfatti. Grazie al programma di 'early access' sono stati trattati oltre 2.000 pazienti prima della rimborsabilità, con risultati sovrapponibili a quelli ottenuti nello studio registrativo”.

*in Evidenza***Sicurezza sul lavoro, il Decalogo di Confasal per la prevenzione partecipata***in Evidenza***Sostenibilità al centro del Masterplan 2023-2037 dell'aeroporto Marco Polo di Venezia***in Evidenza***Osservatorio EY Future Travel Behaviours, 88% italiani dichiara di aumentare viaggi***in Evidenza***Chicchi di caffè coltivati su Marte, la campagna green di Lavazza***in Evidenza***Solo 101 i Comuni nati da fusione o incorporazione destinatari degli incentivi 2022**

"Il momento della comunicazione della diagnosi – sostiene Giuseppe Toro, presidente nazionale Ail - è caratterizzato da emozioni quali paura, sconforto, rabbia, preoccupazione. Per questo è necessaria un'assistenza sempre più integrata e multidisciplinare che, insieme alle figure dell'ematologo e dell'infermiere, comprenda anche lo psicologo – figura centrale nel supporto al paziente che, come Ail, intendiamo rafforzare sempre di più – il nutrizionista, il palliativista e l'infettivologo. Inoltre, è importante contribuire a garantire l'accesso rapido e uniforme all'innovazione e ai servizi di supporto sociosanitari sul territorio”.

*in Evidenza***Le aziende italiane accelerano sulla sostenibilità per l'aumento dei prezzi***in Evidenza***Coripet inaugura 5 nuovi ecocompattatori a Lecce per il riciclo del Pet***in Evidenza***Progetto Scuole E.ON, per diffondere le pratiche virtuose a tutela del Pianeta**

“Siamo di fronte a un caso virtuoso di accesso all'innovazione terapeutica nel nostro Paese, reso possibile dal contributo concreto di tutti gli attori coinvolti – evidenzia Fabrizio Greco, amministratore delegato di AbbVie - Nel 2020 la decisione di Aifa di accogliere la richiesta della comunità scientifica e delle associazioni dei pazienti di rendere venetoclax disponibile in Italia in anticipo rispetto all'approvazione europea, ha consentito a più di 2.000 pazienti con leucemia mieloide acuta di beneficiare di una maggiore sopravvivenza. La recente decisione di Aifa di riconoscere a venetoclax, insieme alla rimborsabilità da parte del Ssn, lo status di innovatività con il relativo inserimento nel Fondo dei farmaci innovativi, ne garantirà un accesso rapido e uniforme a livello regionale e di singolo centro. Dobbiamo continuare a collaborare con istituzioni, società scientifiche e associazioni dei pazienti per superare i singoli casi virtuosi e definire un sistema di regole e risorse che permetta di riconoscere il valore dell'innovazione terapeutica e di renderla disponibile in modo rapido ed ampio a tutti coloro che ne hanno bisogno”. Infine, Tilde Minasi, presidente dell'Intergruppo parlamentare 'Oncologia: prevenzione, ricerca e innovazione' e membro della Commissione Affari sociali del Senato: “Il nostro sistema sanitario universalistico

*in Evidenza***Aisla, a Novara al via telemonitoraggio gratuito per comunità Sla***in Evidenza***A Clough, società del Gruppo Webuild, in joint venture con Saipem nuovo contratto da 2,56 mld***in Evidenza***A Roma il 21 e 22 aprile lo European Innovation for Sustainability Summit***in Evidenza***Viaggio nel microbiota: 'La microflora e il mistero arcano della pancia gonfia'***in Evidenza***I numeri e l'impegno di Penny Italia per la sostenibilità**

garantisce a tutti i pazienti l'accesso alle cure. Per le persone colpite da leucemia mieloide acuta è fondamentale il potenziamento dell'assistenza domiciliare, previsto anche dal Piano oncologico nazionale 2023-2027. Avvicinare le cure alle persone ne facilita anche l'accessibilità, impatta sull'aspettativa di vita e favorisce risparmi per il sistema e per i pazienti”.

*in Evidenza***Sir, 'contro malattie reumatologiche più diagnosi precoce e aderenza alle terapie'***in Evidenza***Tumori, Merck lancia in Italia tepotinib contro cancro polmone avanzato***in Evidenza***Inps, Assegno unico universale: un bilancio dei primi 12 mesi***in Evidenza***Regioni, le misure approvate in Conferenza Unificata***in Evidenza***Milano, presentato progetto di Alexion sull'impatto nella vita della donna delle malattie rare***in Evidenza***A Genova 'Sinfonie d'Arte', capolavori dal Cinquecento al Settecento***in Evidenza***Confasal, il Pnrr per l'istruzione e la ricerca***in Evidenza***Lo Sport stile di vita***in Evidenza***Giro d'Italia della Csr, 11a edizione 'Abitare il cambiamento'**RIPRODUZIONE RISERVATA  
© COPYRIGHT ADNKRONOS

## Demografica, leggi lo Speciale

Persone, popolazione, natalità: Noi domani. Notizie, approfondimenti e analisi sul Paese che cambia.



## Tag

OK AIFA

LEUCEMIA MIELOIDE ACUTA

LEUCEMIA MIELOIDE

RIMBORSABILITÀ DI VENETOCLAX

## Vedi anche

SPECIALE

**Obiettivo ESG**

PODCAST

**Notizie dall'Ucraina | podcast****Data Journalism  
Adnkronos**

NEWS TO GO

**World Press Freedom  
Index: "Libertà di stampa in  
pessime condizioni"**

NEWS TO GO