



Sul New England of Medicine i risultati dello studio coordinato in Europa dall'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù



Roma,
7 maggio 2020 - 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 - sono stati pubblicati ora dal *New England of Medicine*, una delle più importanti e prestigiose riviste scientifiche al mondo.

L'HLH

è una grave sindrome iperinfiammatoria che si presenta tipicamente durante l'infanzia (2 bambini ogni 100 mila 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. Emapalumab si è mostrato in grado di bloccare l’iper-infiammazione e controllare le caratteristiche acute della malattia in oltre il 60% dei casi.

Emapalumab

è un anticorpo monoclonale diretto contro una molecola (interferone-gamma) che gioca un ruolo chiave nel regolare la nostra risposta immunitaria e che viene prodotta in eccesso nei pazienti con HLH. La somministrazione di emapalumab ha consentito di ‘spegnere’ l’eccessiva risposta infiammatoria nei bambini sottoposti allo studio, neutralizzando gli effetti derivanti dall’eccessiva produzione di interferone-gamma.



Prof. Franco Locatelli

Per il prof. Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica dell’Ospedale Pediatrico 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”.

Emapalumab

è la prima terapia mirata approvata dalla Food & Drug Administration (FDA) statunitense per l'HLH primaria ed è in fase di revisione da parte dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA). Il suo utilizzo sperimentale è salito agli onori della cronaca per la prima volta all'inizio del 2019 in occasione della vicenda di Alex, il bimbo italiano trasferito dal Great Ormond Street di Londra al Bambino Gesù di Roma, 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 caratterizzate da eccessiva risposta infiammatoria e iperproduzione di interferone-gamma.

[NEJM-Emapalumab-in-Children-with-Primary-Hemophagocytic-Lymphohistiocytosis](#)

[Press release - emapalumab data in New England Journal of Medicine](#)