

Login con  » ACCEDI | REGISTRATI

SANITÀ33

Politica sanitaria ▾ / Ricerca e cura ▾ / Lavoro e professioni ▾ / Speciali e servizi ▾

Q/33 ▾

< Home / Terapia / Malattie rare



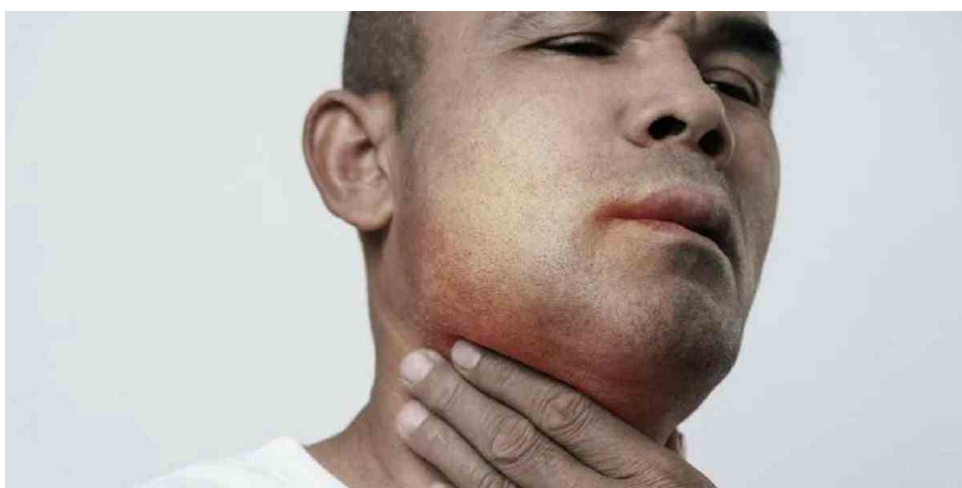
RICERCA E CURA

23 Gennaio 2026

MALATTIE RARE

Angioedema ereditario, approvata in Ue nuova terapia di profilassi

La Commissione Europea ha autorizzato donidalorsen per la prevenzione degli attacchi di angioedema ereditario in adulti e adolescenti



La Commissione Europea ha concesso l'autorizzazione alla commercializzazione di donidalorsen per la profilassi a lungo termine degli attacchi ricorrenti dell'angioedema ereditario (HAE) negli adulti e negli adolescenti con età pari o superiore ai 12 anni.

L'angioedema ereditario è una malattia genetica rara, cronica e potenzialmente mortale che colpisce circa 15.000 pazienti in Europa. L'HAE è una malattia genetica che causa episodi imprevedibili di gonfiore che possono interessare gli arti, il viso, l'addome, gli organi genitali e la laringe. Circa il 50% dei pazienti con HAE presenta i primi sintomi entro i 10 anni e comunque la maggior parte manifesta i primi sintomi o il primo attacco entro i 18 anni. Ansia e depressione sono comuni nei pazienti con HAE, spesso causate dalla natura imprevedibile, dalla frequenza e dalla gravità degli episodi di gonfiore.

Resta aggiornato con noi!

La tua risorsa per news mediche, riferimenti clinici e formazione.

Iscriviti al servizio utilizzando il tuo account Medikey

☐ Dichiaro di aver letto e accetto le condizioni di privacy

IlMagazine
Il giornale del management della sanità

I PIÙ LETTI

“L’HAE colpisce i pazienti sia sul piano fisico che psicologico, con sintomi che possono minare fortemente la qualità di vita” afferma **Mauro Cancian**, Responsabile UOSD di Allergologia presso l’Azienda Ospedale Università di Padova, Presidente del network italiano per l’angioedema ITACA e chair dell’Angioedema Working Group dell’EAACI.

Donidalorsen è una terapia di profilassi first in class mirata all’RNA per gli attacchi di HAE con somministrazione sottocutanea. È un oligonucleotide antisenso coniugato con ligando che riduce la produzione di precallieina nel fegato, interrompendo il meccanismo patologico che causa gli attacchi e di ridurre quindi in modo significativo la frequenza di questi ultimi. Inoltre, offre la possibilità di ridurre il numero di somministrazioni rispetto alle attuali profilassi minimizzando quindi il burden of treatment, “Rappresentando quindi un’opportunità preziosa di profilassi a lungo termine sia per i pazienti che provengono da una terapia on demand, sia per quanti provengono da una precedente terapia profilattica che non è risultata efficace o che comportava effetti collaterali significativi” afferma Cancian.

La decisione fa seguito al parere positivo del Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) di novembre 2025. La nuova autorizzazione si riferisce ai 27 Stati membri della UE, Islanda, Liechtenstein, e Norvegia.

Donidalorsen ha dimostrato una riduzione significativa del tasso di attacchi di HAE rispetto a placebo nello studio di Fase 3 OASIS-HAE con una riduzione del 55% (tasso medio di attacchi 1,02 vs 2,26 del placebo) ogni otto settimane.

Alla settimana 24, il 91% dei pazienti con somministrazione presentava malattia ben controllata rispetto al 41% dei pazienti nel gruppo placebo, secondo la misurazione con l’Angioedema Control Test, ed è stato osservato un miglioramento della qualità di vita, dimostrato da una riduzione rispetto al valore basale di 24,8 punti nel punteggio totale medio di Angioedema Quality-of-Life. Nello studio non sono stati identificati gravi eventi avversi che comprendono reazioni nel sito dell’iniezione, tipiche delle profilassi sottocutanee, aumento transitorio degli enzimi epatici e reazioni di ipersensibilità.

Nel 2023 Ionis Pharmaceuticals, Inc. e Otsuka Pharmaceutical Co., Ltd hanno stipulato l’accordo iniziale di licenza per la commercializzazione di donidalorsen in Europa, con la successiva estensione all’area Asia Pacifico.

“Donidalorsen potrebbe rappresentare un’opzione utile per le persone con angioedema ereditario, contribuendo a migliorare la gestione della quotidianità, sia in ambito lavorativo che scolastico” ha concluso **Alessandro Lattuada**, Managing Director Otsuka Italia.

TERAPIA**Tumore del polmone, disponibile nuova combinazione di terapie mirate****TERAPIA****Emofilia A, rimborsata in Italia la nuova terapia settimanale con fattore VIII****TERAPIA****Alzheimer, Novartis sigla un accordo con SciNeuro per nuovi anticorpi****TERAPIA****Via libera negli USA al primo farmaco contro la malattia di Menkes****TERAPIA****Braccialetti contro l’alterazione delle bevande, efficaci per ketamina. Studio Iss**

Se l'articolo ti è piaciuto rimani in contatto con noi sui nostri canali social seguendoci su:



Oppure rimani sempre aggiornato in ambito farmaceutico iscrivendoti alla nostra newsletter!

[ISCRIVITI](#)

POTREBBERO INTERESSARTI ANCHE

23/01/2026

GOVERNO E PARLAMENTO

Ddl professioni sanitarie, Federsanità: attuazione decisiva per qualità e sicurezza

Federsanità valuta il Ddl sulle professioni sanitarie un passaggio strategico, ma chiede un'attuazione condivisa con Regioni e aziende

23/01/2026

GOVERNO E PARLAMENTO

Prevenzione veterinaria, Gemmato: "Il 70% delle infezioni emergenti nasce dagli animali"

Intervistato a margine della presentazione della Giornata nazionale per la Prevenzione Veterinaria, il sottosegretario Marcello Gemmato richiama il ruolo dei servizi veterinari nel controllo delle...

23/01/2026

GOVERNO E PARLAMENTO

Professioni sanitarie, Gimbe: Personale "saccheggiato" di 33 miliardi. La riforma è a rischio

In dodici anni la spesa per i professionisti è crollata dal 39,7% al 36,6%. Cartabellotta avverte: "Senza risorse il nuovo Ddl sarà solo un esercizio di stile. Il SSN rischia il collasso..."

23/01/2026

GOVERNO E PARLAMENTO

Sanità globale, gli Usa escono dall'Oms. Impatti su bilancio e governance

Gli Stati Uniti hanno formalmente lasciato l'Oms il 22 gennaio dopo il periodo di preavviso

SANITÀ 33

CARDIOLOGIA 33

DIABETOLOGIA 33

ENDOCRINOLOGIA 44

DOCTOR 33

MEDICINA INTERNA 33

NUTRIZIONE 33

PEDIATRIA 33

OSTETRICIA 33

Chi Siamo

Contatti

Note

Legali

Privacy

GINECOLOGIA33

FARMACISTA33

PUNTOEFFE

ODONTOIATRIA33

DENTAL CADMO:

DICA33

ECM33

VE T33

ORTOPEDIA33
ONCONEWS

©2026 Edra S.p.a | www.edraspa.it | P.iva 08056040960 | Tel. 02/881841 | Sede legale: Viale Enrico Forlanini 21 - 20134 Milano (Italy)