

Malattie rare e nuove terapie «Il farmaco è rimborsabile ma non ancora in Toscana» Appello di medici e pazienti

Disco verde dell'Agencia Aifa alla gratuità del medicinale per l'ipoparatiroidismo. Ma la Regione tarda a recepire le indicazioni nazionali. A Firenze il convegno con esperti e specialisti: «Accelerare i tempi, favorire l'accesso ai trattamenti»

FIRENZE

A inizio aprile l'Agencia Italiana del Farmaco ha approvato la rimborsabilità di palopegteriparotide, terapia sostitutiva dell'ormone paratiroideo (Pth) indicata per il trattamento di adulti con ipoparatiroidismo cronico. Un aiuto per questa malattia endocrina rara (si stima che in Italia ci siano circa 10.500 pazienti con forme croniche, con un'incidenza di circa 0,8-2,3 nuovi casi ogni 100mila persone all'anno), caratterizzata da bassi o inappropriati livelli di ormone paratiroideo circolante. Le Regioni si stanno progressivamente adeguando, ma la Toscana non lo ha ancora fatto: per questo pazienti e mondo scientifico chiedono di accelerare.

Firenze ha ospitato una tappa di "Endopercorsi", evento a cura di Motore Sanità organizzato per fare il punto e chiedere risposte urgenti. Nel corso del convegno, rappresentanti delle istituzioni sanitarie, decisori regionali, clinici, farmacisti e professionisti si sono confrontati sulle nuove frontiere terapeutiche nel diabete di tipo 1, nella TED e nell'ipoparatiroidismo. Si è parlato, in particolare di palopegteriparotide, profarmaco dell'ormone paratiroideo (PTH 1-34) sviluppato da Ascendis Pharma utilizzando la tecnologia TransCon: somministrato per via sottocutanea una volta al

giorno, consente un rilascio sostenuto di PTH attivo, mantenendo livelli fisiologici dell'ormone nell'arco delle 24 ore.

«**In Toscana** non c'è ancora questo farmaco - ha detto Marta Cecconi, presidente dell'Appi, Associazione per i pazienti con ipoparatiroidismo - e vogliamo assolutamente che arrivi. Come pazienti ci confrontiamo con persone che hanno le nostre stesse patologie e che, vivendo in altre regioni, lo hanno a disposizione. Vorrei chiedere ai politici: se fosse vostra figlia, mamma o sorella ad averne bisogno cosa fareste? Sareste disposti a prendere una stanza in un'altra regione per poter ricevere il farmaco dove è prescrivibile? Occorre pensare alla qualità della vita dei pazienti ma anche agli aspetti economici visto che alcuni pazienti necessitano di lunghi ricoveri ospedalieri».

«**Per noi** il farmaco è fondamentale - ha spiegato Filomena Cettani, professoressa associata di endocrinologia del Dipartimento di medicina clinica e sperimentale dell'Università degli Studi di Pisa - perché abbiamo dei pazienti che hanno partecipato al trial clinico e si sono trovati benissimo: non avere accesso al farmaco rappresenta un problema perché non consente continuità terapeutica. Mi auguro che, nel più breve tempo possibile, si possa dare il farmaco ai

pazienti già in trattamento e a tutti coloro che seguiamo».

«**L'ipoparatiroidismo** è una malattia molto eterogenea per il trattamento - ha chiarito Luisa Cianferotti, professoressa associata di endocrinologia all'Università degli Studi di Firenze e dirigente medico presso la Sod delle malattie del metabolismo minerale osseo di Careggi e vicepresidente del corso di laurea di medicina e chirurgia all'Unifi -. Ci sono pazienti che con la terapia convenzionale stanno abbastanza bene, ma ce ne sono altri per i quali non è così. Aspettiamo dunque che la Regione Toscana ci garantisca la prescrivibilità a partire dai centri di terzo livello, ma anche dai centri territoriali delle Aree Vaste, dove ci sono specialisti che gestiscono la patologia. C'è un bisogno estremo di coinvolgimento del territorio e dei medici di medicina generale».

«**Prendiamo atto** oggi di quanto sia importante accelerare i tempi, anche nella nostra regione, affinché questo farmaco sia a disposizione il prima possibile - le parole di Jacopo Cellai, consigliere regionale toscano di



Peso: 90%

Fdl-. Crediamo sia essenziale in questo senso accelerare i tempi, in modo che la Toscana possa rispondere alle necessità dei pazienti, dando il via a farmaci già approvati dalle autorità nazionali».

Giorgia Peruzzi

© RIPRODUZIONE RISERVATA

RIFLETTORI

Si tratta di una malattia endocrina rara: si stima che in Italia ci siano circa 10.500 persone con forme croniche

L'ASSOCIAZIONE

«Pensare alla qualità della vita dei pazienti ma anche agli aspetti economici: alcuni di loro necessitano di lunghi ricoveri»



Gli investimenti in ricerca sostengono gli studi per arrivare a nuovi farmaci



L'esperienza sul campo

CONDIVISIONE



Filomena Cetani
Università di Pisa

«Non avere accesso al farmaco rappresenta un problema perché non consente continuità terapeutica. Mi auguro che, nel più breve tempo, si possa dare il farmaco ai pazienti già in trattamento e a tutti coloro che seguiamo»

Il mondo della politica

SOSTEGNO



Jacopo Cellai
Consigliere regionale toscano di Fdl

«E' importante accelerare i tempi affinché questo farmaco sia a disposizione il prima possibile. Crediamo sia essenziale che la Toscana possa rispondere alle necessità dei pazienti, dando il via a farmaci già approvati»



Peso:90%