

Από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή

Εγκρίθηκε η δεφερασιρόξη για τη θεραπεία της μεσογειακής αναιμίας (Ενδιάμεση Μ.Α.)



Αθήνα

Η Ευρωπαϊκή Επιτροπή πρόσφατα ανακοίνωσε την έγκριση της δεφερασιρόξης για τη θεραπεία της χρόνιας υπερφόρτωσης σιδήρου σε ασθενείς 10 ετών και άνω που πάσχουν από μη μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία, στις περιπτώσεις που η θεραπεία με δεφεροξαμίνη είτε αντενδείκνυται, είτε κρίνεται ανεπαρκής.

Είναι η πρώτη από του στόματος εγκεκριμένη αγωγή στην Ευρωπαϊκή Ένωση που ενδείκνυται για τη θεραπεία της χρόνιας υπερφόρτωσης σιδήρου σε ασθενείς με αυτούς τους τύπους μεσογειακής αναιμίας.

Η έγκριση βασίστηκε σε αποτελέσματα από τη μελέτη **THALASSA**, την πρώτη προοπτική ελεγχόμενη με εικονικό φάρμακο μελέτη αποσιδήρωσης σε ασθενείς με μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία, τα οποία έδειξαν σημαντική δόσοεξαρτώμενη μείωση του φορτίου σιδήρου σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο ($p < 0.001$). Σε αυτή την πιλοτική μελέτη, η δεφερασιρόξη μείωσε σημαντικά τη συγκέντρωση σιδήρου στο ήπαρ, γνωστή ως συγκέντρωση ηπατικού σιδήρου καθώς και τη φερριτίνη ορού. Το προφίλ ασφάλειας ήταν παρόμοιο με το σκέλος εικονικού φαρμάκου.

«Η μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία απαιτεί σύνθετους χειρισμούς. Χωρίς την κατάλληλη αγωγή, οι ασθενείς με μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία είναι δυνατόν να υποφέρουν από σοβαρές επιπλοκές που επηρεάζουν σημαντικά τη ζωή λόγω της χρόνιας υπερφόρτωσης σιδήρου», είπε η Maria Domenica Cappellini, καθηγήτρια στο Τμήμα Παθολογίας του Πανεπιστημίου του Μιλάνου. «Τα δεδομένα της μελέτης THALASSA αποδεικνύουν ότι αυτοί οι ασθενείς έχουν πια στη διάθεσή τους μια αποτελεσματική από του στόματος θεραπευτική επιλογή που βοηθά στη μείωση της συγκέντρωσης σιδήρου στο σώμα».

Ο όρος μεσογειακή αναιμία αναφέρεται σε μια ομάδα γενετικών διαταραχών, οι οποίες επηρεάζουν την παραγωγή ερυθρών αιμοσφαιρίων και προκαλούν αναιμία. Σε αντίθεση με άλλους τύπους μεσογειακής αναιμίας, στους οποίους οι ασθενείς χρειάζονται τακτικές μεταγγίσεις αίματος, μία σημαντική αιτία της υπερφόρτωσης σιδήρου, οι ασθενείς με μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία μπορούν να ζήσουν χωρίς τακτικές μεταγγίσεις αίματος. Ακόμη όμως και χωρίς μεταγγίσεις, οι ασθενείς αυτοί εξακολουθούν να συσσωρεύουν περίσσεια σιδήρου μέσω εντερικής απορρόφησης, γεγονός που οδηγεί σε σοβαρές επιπλοκές, όπως ηπατική ίνωση και κίρρωση, θρόμβους, ασθένειες των οστών, πνευμονική υπέρταση και αγγειακές και ενδοκρινικές νόσους.

Η έγκριση αυτή θεωρείται ένα σημαντικό ορόσημο για ασθενείς με μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία γιατί, για πρώτη φορά, η δεφερασιρόξη είναι στη διάθεση ασθενών με μεσογειακή αναιμία οι οποίοι δεν υπόκεινται τακτικά σε μεταγγίσεις, αλλά παρόλα αυτά υποφέρουν από επικίνδυνες για τη ζωή επιπλοκές λόγω της περίσσειας σιδήρου.

Σύμφωνα με δημοσιευμένες μελέτες, τουλάχιστον 750.000 άνθρωποι σε όλο τον κόσμο πάσχουν από μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία, και παρά την πρόοδο στην κατανόηση της νόσου, ο αριθμός αυτός πιθανώς να μεγαλώσει. Οι ασθενείς με μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία δεν παρουσιάζουν συμπτώματα κατά τη γέννησή τους, όταν συνήθως διαγιγνώσκονται τα περισσότερα είδη θαλασσαιμίας, και για το λόγο αυτό διαφεύγουν της διάγνωσης και δεν λαμβάνουν θεραπεία. Αρκετές επιπλοκές που σχετίζονται με τη χρόνια υπερφόρτωση σιδήρου κάνουν την εμφάνισή τους στην ηλικία των 10 ετών, ενώ γίνονται όλο και πιο συχνές σε ασθενείς που πλησιάζουν τα 20 ή τα 30 έτη. Η μη-μεταγγισιοεξαρτώμενη μεσογειακή αναιμία συναντάται συνήθως στην ΝΑ Ασία, την Ν. Ασία, τη Μέση Ανατολή και τη Μεσόγειο, ενώ η μετανάστευση αυξάνει τον παγκόσμιο επιπολασμό της νόσου.