



A. O. Moscati; Malattie rare Anemia aplastica Ricerca condotta da Risitano



Avellino. Azienda Ospedaliera "San Giuseppe Moscati": Un importante studio, che potrebbe rendere più efficaci le cure per l'anemia aplastica grave, una malattia rara e potenzialmente fatale, è stato pubblicato lo scorso 6 Gennaio sulla rivista scientifica *New England Journal of Medicine*, riconosciuta tra le più importanti al mondo. La ricerca porta anche la firma di **Antonio Mario Risitano**, Direttore dell'Unità operativa di Ematologia e Trapianto di midollo dell'Azienda "San Giuseppe Moscati" di Avellino, che l'ha ideata con **Régis Peffault de Latour**, professore e Direttore del Centro di riferimento francese per l'anemia aplastica e la EPN presso l'ospedale Saint-Louis di Parigi, per poi pianificarla insieme a **Carlo Dufour**, Professore e Direttore del Dipartimento di Emato-Oncologia e Trapianti di Cellule Staminali dell'Ospedale Pediatrico "G. Gaslini" di Genova, e coordinatore del Gruppo di Studio dell'EBMT (Società Europea di Trapianto di Midollo Osseo e Terapie Cellulari) sulle Anemie Aplastiche Severe (SAA).

Lo studio internazionale, promosso dal ristretto gruppo di ricercatori, peraltro indipendenti (si tratta di uno studio accademico, non promosso da aziende farmaceutiche), in aperto, controllato, di fase III, randomizzato, ha valutato 197 pazienti con SAA. I pazienti erano di età pari o superiore a 15 anni, avevano una diagnosi di SAA acquisita e non avevano ricevuto un precedente trattamento immunosoppressivo. La sperimentazione ha dimostrato che l'aggiunta di eltrombopag al trattamento immunosoppressivo standard è sicura e migliora la qualità della risposta

nei pazienti.

Il successo dello studio è motivo di orgoglio per l'Azienda "Moscati" non solo per il prestigioso riconoscimento attribuito al primario Risitano: il Direttore Generale, **Renato Pizzuti**, infatti, oltre a lavorare per un continuo miglioramento della qualità dell'assistenza, sta investendo anche nella ricerca, nella convinzione che possa portare vantaggi sia all'intera comunità scientifica che alla stessa Azienda, in termini di utilizzo di farmaci e procedure innovativi.

L'anemia aplastica grave insorge quando il midollo osseo non produce abbastanza nuove cellule del sangue. La SAA, fino a qualche anno fa incurabile, può oggi essere trattata con il trapianto di cellule staminali ematopoietiche o, per i pazienti non idonei a ricevere un trapianto o che non trovano un donatore, con un trattamento immunosoppressivo. Tuttavia, circa il 35% dei pazienti non risponde al trattamento o vi risponde solo parzialmente o tardivamente. Inoltre, un terzo dei soggetti che rispondono può eventualmente recidivare e un altro terzo può richiedere un trattamento immunosoppressivo cronico per mantenere una conta ematica adeguata.

Eltrombopag è stato sviluppato per stimolare la piastrinopoiesi, ma successivamente si è dimostrato efficace anche a ripristinare l'emopoiesi in tutte le sue tre linee. *"Un precedente studio a singolo braccio ha suggerito che eltrombopag in aggiunta al trattamento immunosoppressivo standard poteva migliorare la risposta nei soggetti con anemia aplastica grave o molto grave – spiega il primario Risitano - . Trattandosi dei risultati di uno studio non controllato, non potevano, però, essere presi in considerazione per modificare il trattamento. Per questo erano necessari dati derivati da studi di livello superiore, cioè di tipo randomizzato controllato, che rappresentano il più alto grado scientifico di evidenza ottenibile. Ed è proprio quello che abbiamo fatto. Siamo molto entusiasti che i risultati dello studio RACE ora confermino che l'aggiunta di eltrombopag all'immunosoppressione standard porta a tassi di risposta significativamente più rapidi e migliori rispetto al solo trattamento immunosoppressivo standard".*