**Emofilia A: a Milano un evento dedicato agli ultimi progressi nella terapia**

Fare il punto sui progressi nel trattamento dell’emofilia A (dovuta al deficit congenito del fattore VIII della coagulazione) e su che cosa può significare un trattamento a emivita prolungata per le persone che convivono con questa patologia. Sono gli obiettivi dell’evento ***PROGress* - *PROtezione e proGresso della terapia in Emofilia A***, organizzato oggi a Milano da **Sobi (Swedish Orphan Biovitrum srl)** in occasione **del lancio in Italia di** **efmoroctocog alfa**, il primo fattore VIII ricombinante a emivita prolungata, ottenuto mediante tecnologia Fc (rFVIIIFc).

Efmoroctocog alfa, approvato nei 28 Paesi membri dell’Unione europea nel 2015 e disponibile in Italia dalla fine di luglio, è indicato per la profilassi e il trattamento dei sanguinamenti in persone con emofilia A di ogni età.

«*Il livello di qualità di vita dei pazienti con emofilia A in Lombardia è decisamente alto; questo grazie al Centro Emofilia e trombosi Angelo Bianchi Bonomi, diretto dalla Professoressa Flora Peyvandi e all’UOS Emofilia della Fondazione Ca’ Granda Policlinico di Milano, diretto dalla Dottoressa Elena Sant’Agostino* - ha affermato **Alessandro Marchello**, Presidente dell’**Associazione Coagulopatici ed Emofilici di Milano Onlus** -. *Un’eccellenza a livello nazionale, sia in termini di ricerca che di terapie all’avanguardia. I giovani emofilici, oggi, hanno un’aspettativa di vita paragonabile a quella dei coetanei sani. Il regime di profilassi, infatti, ha portato a un miglioramento tangibile della qualità di vita, garantendo un livello coagulativo costante. Ciononostante, è ancora presente un grande problema di aderenza terapeutica, legato principalmente alla frequenza delle infusioni endovenose, solitamente a giorni alterni, che mette a rischio l’efficacia stessa della terapia in termini di protezione dai sanguinamenti. Soprattutto, i più piccoli non comprendono perché debbano sottoporsi a iniezioni continue, spesso, anche dolorose. Per questo, considero l’arrivo di terapie a emivita prolungata il grande traguardo dei nostri giorni, un enorme passo avanti che permette a persone come me, costrette a infusioni ricorrenti da circa cinquant’anni, di essere finalmente più libere, ma protette*».

Al centro dell’incontro, a cui hanno partecipato alcuni dei più noti specialisti italiani nel campo dell’emofilia, il concetto di emivita prolungata, ovvero il periodo di tempo in cui il fattore della coagulazione mancante, introdotto nell’organismo tramite terapia sostitutiva, rimane attivo nel corpo.

«*L’emofilia A è una malattia cronica, ancora oggi non guaribile. Pertanto, la terapia (disponibile solo per via endovenosa) si protrae per tutta la vita. La breve emivita dei fattori sostitutivi della coagulazione convenzionali, rende necessaria una loro somministrazione frequente, un limite oggettivo al raggiungimento di una corretta aderenza terapeutica e di una protezione adeguata* - ha affermato la **Dottoressa Elena Sant’Agostino**, Responsabile dell’**UOS Emofilia della****Fondazione Ca’ Granda Policlinico di Milano** -. *Un livello di fattore VIII pari a 1 UI/dL è ritenuto la soglia minima per prevenire gli episodi di sanguinamento. Per alcuni, tuttavia, non è sufficiente; per garantire un’adeguata protezione, quindi, si deve ricorrere a somministrazioni endovenose molto frequenti, fatto che rende la terapia poco accettata, soprattutto dai più giovani. Le famiglie sono ben coscienti dell’importanza di seguire con costanza i trattamenti, così come delle conseguenze dei sanguinamenti, per questo - nonostante le difficoltà e le sofferenze che comportano ai propri figli - spesso, ricorrono al supporto di infermieri o si rivolgono ai Centri Emofilia più vicini. Un fatto che rende la malattia sempre presente nella loro vita*. *L’arrivo di terapie a emivita prolungata è, quindi, il primo importante passo per il miglioramento della qualità di vita delle persone che convivono con l’emofila A»*.

Efmoroctocog alfa per l’emofilia A - in qualità di proteina ricombinante di fusione costituita dal fattore VIII della coagulazione connesso al dominio Fc dell’immunoglobulina umana IgG1 - rappresenta il primo trattamento per l’emofilia A, disponibile oggi in Italia, in grado di offrire una **protezione prolungata verso gli episodi emorragici con infusioni endovenose profilattiche praticate ogni 3-5 giorni**. Grazie alle sue caratteristiche, è in grado di migliorare la protezione dai sanguinamenti, senza aumentare, complessivamente, il consumo di fattore o l’impatto del trattamento stesso.

Alla base dell’approvazione del farmaco nei 28 Paesi membri dell’Unione europea, oltre a Islanda, Liechtenstein e Norvegia, ci sono i risultati degli **studi clinici di fase 3 A-LONG e Kids A-LONG**. In questi lavori, sono stati esaminati l’efficacia, la sicurezza e il profilo farmacocinetico di **efmoroctocog alfa** negli adulti e adolescenti di età superiore ai 12 anni e in bambini di età inferiore ai 12 anni con emofilia A grave (entrambi i gruppi erano già stati precedentemente trattati con altre terapie). La Tecnologia Fc **negli studi A-LONG e Kids A-LONG e sulla base dei dati dello studio ASPIRE, ha dimostrato di superare i limiti terapeutici attuali**: riesce a aumentare il livello di protezione senza incrementare il numero di infusioni e a ridurre la frequenza della somministrazione senza compromettere i livelli di protezione dai sanguinamenti.

«*La nostra speranza per il futuro resta la risoluzione definitiva della malattia. Siamo coscienti, però, che si tratti di un traguardo ancora lontano, probabilmente non alla portata della mia generazione. Per questo motivo, credo che disporre di terapie a emivita prolungata, che permettano di diminuire il numero di infusioni garantendo una maggiore protezione dai sanguinamenti, sia un grande traguardo dei nostri tempi*» - ha concluso il Presidente Marchello.

**Sobi**

Sobi è un’azienda multinazionale biofarmaceutica che dedica la propria attività alle malattie rare. La *mission* aziendale è sviluppare e rendere disponibili terapie e servizi innovativi che migliorino la vita dei pazienti. Le opzioni terapeutiche offerte sono principalmente focalizzate sull’emofilia, le malattie infiammatorie e le malattie genetiche. Sobi commercializza, inoltre, farmaci per malattie specialistiche e rare per diverse aziende partner in Europa, Medio-Oriente, Nord Africa e Russia. Sobi è azienda pioniera nell’ambito delle biotecnologie, con capacità riconosciute a livello mondiale nella biochimica proteica e nella produzione di farmaci biologici. Nel 2015 Sobi ha raggiunto un fatturato totale di 385 milioni di dollari (USD) e circa 700 dipendenti. Sobi è quotata al Nasdaq Stoccolma. Per maggiori informazioni: [www.sobi-italia.it](http://www.sobi-italia.it).

**Per ulteriori informazioni:**

Sergio Lai, General Manager Italy, Greece & Malta                                Nassia Manias, Communications Director, Haemophilia

T: +39 0521 19111                                                                                         T: +46 8 697 2000

E: [sergio.lai@sobi.com](mailto:sergio.lai@sobi.com)                                                                           E: [nassia.manias@sobi.com](mailto:nassia.manias@sobi.com)