

LegnanoNews

Le news di Legnano e dell'Alto Milanese

Malattie rare: a Legnano paziente salvata con un farmaco non ancora approvato in Europa

Marco Tajè · Tuesday, February 27th, 2024

Nella settimana **dedicata alla cura delle malattie rare**, il centro dell'ASST Ovest Milanese, diretto dalla dr.ssa Paola Faggioli, e il Dipartimento di Area medica del prof. Antonino Mazzone, salgono agli onori della cronaca **per aver salvato la vita a una paziente, Z.M., curata con un farmaco non ancora approvato in Europa, l'emapalumab.**

«La paziente – conferma il prof. Mazzone -, dopo un breve ricovero in Ematologia, è stata trasferita nella Medicina Interna, sede del Centro Malattie rare dell'ASST Ovest Milanese. Qui è risultata affetta da linfocitopenia emofagocitica (HLH), **una sindrome iperinflammatoria** che, se si verifica in presenza di malattie autoimmuni, viene utilizzato il termine Mas, sindrome da attivazione dei macrofagi».

« La MAS è stata confermata dall'esame del midollo osseo – prosegue Mazzone-. La sindrome d'attivazione macrofagica sollecita **le cellule "spazzino", che abitualmente eliminano le cellule infette, ad eliminare anche le cellule sane**».

Il medico legnanese ha lanciato subito la corsa contro il tempo per salvare la donna. Così ha fatto riferimento a una pubblicazione del 2020, «il 'New England Journal of Medicine' dove sono stati inseriti i risultati di uno **studio coordinato in Europa dall'ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma su emapalumab**, che si è dimostrato un farmaco salvavita per i bambini con Hlh primaria, sindrome genetica ultrarara che lascia poche speranze a chi non riesce ad arrivare in tempo al trapianto di cellule staminali emopoietiche».



«Forti di questa esperienza nei bambini – prosegue il suo racconto – abbiamo deciso di iniziare una terapia di associazione con eculizumab, uno dei farmaci intelligenti che regolarmente viene usato dal nostro Centro delle malattie rare. Questo farmaco si è dimostrato efficace per una patologia gravata da un tasso di mortalità molto elevato. **Il farmaco non ancora approvato in Europa ci è stato fornito per uso compassionevole dalla Sobi Swedish Orphan Biovitrum che ringraziamo**

insieme alla dr.ssa Bevilacqua del Trial office di questa ASST ovest Milanese. Ma tutto questo non si puo' ottenere se non **insieme ai giovani medici ed infermieri del reparto** che hanno assistito la paziente dimessa nei giorni scorsi».

La conclusione del prof. Mazzone è un appello: «Quando si parla di malati rari coinvolgiamo tutti gli stakeholders e le associazioni dei pazienti per non lasciare solo il funzionario ignaro che compra quello che costa meno senza saper niente della qualita' di vita della paziente e dell'outcome della stessa. Spero, insomma, che si possa **tornare ad una medicina che metta al centro la persona paziente**, e mi permetto di citare indegnamente un'autorita' morale dei nostri tempi, che ho avuto l'onore di conoscere il cardinale Martini **“Il paziente non è un cliente, l'ospedale non è un azienda, la sanita' è fuori dal mercato»**.

This entry was posted on Tuesday, February 27th, 2024 at 10:13 am and is filed under [Legnano, Salute](#)

You can follow any responses to this entry through the [Comments \(RSS\)](#) feed. You can leave a response, or [trackback](#) from your own site.