

MALATTIE RARE: UN NUOVO FARMACO PER LA PERICARDITE IDIOPATICA RICORRENTE

Sul The New England Journal of Medicine pubblicati i risultati di uno studio internazionale che documenta l'efficacia del rilonacept. Coinvolti nella sperimentazione la Città della Salute e della Scienza di Torino, il Fatebenefratelli Sacco di Milano e il Bambino Gesù di Roma, unico centro pediatrico.

Un **nuovo farmaco** per il trattamento di una **malattia rara autoinfiammatoria** che colpisce il cuore, la pericardite idiopatica ricorrente. Sul **The New England Journal of Medicine** sono stati pubblicati i risultati dello studio internazionale che confermano l'efficacia del **rilonacept**, sviluppato da Kiniksa. La sperimentazione ha coinvolto diversi centri negli Stati Uniti, in Israele e in Australia. In Italia hanno partecipato la Città della Salute e della Scienza di Torino, l'Ospedale Fatebenefratelli Sacco di Milano e il **Bambino Gesù di Roma**, unico ospedale pediatrico.

LA MALATTIA

La pericardite idiopatica ricorrente è una **malattia rara autoinfiammatoria**, di cui non si conosce la causa né la reale incidenza. La malattia è caratterizzata da episodi ricorrenti di infiammazione del pericardio (pericardite), la membrana che riveste il cuore. Gli episodi di **pericardite acuta** si manifestano con febbre, dolore toracico, astenia (debolezza generale), affanno e difficoltà respiratoria e sono spesso caratterizzati dalla presenza di versamento pericardico, cioè di liquido nel pericardio. Si tratta di una condizione che va valutata tempestivamente in ospedale. Da qualche anno è stato dimostrato come nell'origine della malattia svolga un ruolo chiave una molecola infiammatoria chiamata **Interleuchina 1**.

LE TERAPIE ESISTENTI

Questa patologia può essere curata con la **colchicina** e con i **farmaci antinfiammatori non steroidei** che nel bambino rappresentano la prima scelta poiché hanno minori effetti collaterali rispetto agli antinfiammatori steroidei (cortisone). Tuttavia spesso **tali farmaci non sono sufficienti** a prevenire le **ricadute** e quindi è necessario utilizzare il **cortisone**, anche per lunghi periodi, con tutti gli **effetti collaterali** che tale terapia purtroppo comporta nel lungo termine.

LO STUDIO

Lo studio internazionale pubblicato sul The New England Journal of Medicine ha coinvolto **86 pazienti di età superiore ai 12 anni**. Si è trattato di uno **studio di fase 3**, che è l'ultima prima della commercializzazione. Il farmaco utilizzato nella sperimentazione, il **rilonacept**, è un nuovo **inibitore dell'Interleuchina 1**. Oltre a essersi dimostrato **efficace nel trattare l'episodio acuto** di pericardite, è risultato efficace nel **prevenire le recidive**. Ha consentito inoltre di diminuire rapidamente, fino a eliminare, eventuali terapie concomitanti tra cui il cortisone, con tutti i suoi effetti collaterali. Presenta anche il vantaggio di essere somministrato sottocute una sola volta a settimana. Il suo utilizzo sui pazienti con pericardite idiopatica ricorrente ha consentito e consentirà un **netto miglioramento della qualità di vita** dei pazienti.