

# Rassegna stampa

Un farmaco innovativo combatte gli alti livelli di trigliceridi in una malattia genetica rara

Gli articoli qui riportati sono da intendersi non riproducibili né pubblicabili da terze parti non espressamente autorizzate da Sapienza Università di Roma



SAPIENZA  
UNIVERSITÀ DI ROMA

a cura del settore Ufficio stampa e comunicazione

## Rassegna del 04-09-19

		<b>COMUNICATO STAMPA</b>		
08/08/19	<b>UNIVERSITÀ SAPIENZA DI ROMA</b>	1	<a href="#">Un farmaco innovativo combatte gli alti livelli di trigliceridi in una malattia genetica rara</a> ...	1
		<b>SAPIENZA WEB</b>		
08/08/19	<b>AGI.IT</b>	1	<a href="#">C'è un nuovo farmaco che combatte i trigliceridi alti. Uno studio</a> ...	3
		<b>SAPIENZA SITI MINORI WEB</b>		
27/08/19	<b>CORRIERNAZIONAL E.IT</b>	1	<a href="#">Chilomicronemia: volanesorsen riduce i trigliceridi</a> ...	5
10/08/19	<b>CORRIERNAZIONAL E.IT</b>	1	<a href="#">Sindrome iperchilomicronemica: speranze da nuovo farmaco</a> ...	8
08/08/19	<b>METEOWEB.EU</b>	1	<a href="#">Trigliceridi alti: un nuovo farmaco aiuta a combatterli - Meteo Web</a> ...	10



## **Un farmaco innovativo combatte gli alti livelli di trigliceridi in una malattia genetica rara**

**Un recente studio, frutto di una collaborazione internazionale alla quale ha partecipato la Sapienza, ha dimostrato che il volanesorsen riduce il rischio di pancreatite acuta, possibile causa di morte nei pazienti affetti dalla sindrome iperchilomicronemica. Il lavoro è stato pubblicato sulla rivista *New England Journal of Medicine***

La sindrome iperchilomicronemica è una rara malattia genetica causata da un grave deficit nel sistema enzimatico che riguarda lo smaltimento dei trigliceridi nel sangue, soprattutto quelli che si formano dopo un pasto. È caratterizzata da livelli molto alti di trigliceridi (tipicamente 2000-3000 mg/dl, rispetto a livelli normali inferiori a 150 mg/dl) e si accompagna a un elevato rischio di pancreatite acuta, una complicanza che oltre a causare la distruzione del pancreas, espone chi ne è colpito al rischio di morte.

Un nuovo studio internazionale, al quale ha partecipato Marcello Arca del Dipartimento di Medicina interna e specialità mediche della Sapienza, ha dimostrato l'efficacia di un medicinale innovativo, chiamato volanesorsen, per la cura dei pazienti affetti da questa malattia. Nel lavoro pubblicato sulla rivista *New England Journal of Medicine*, è stato evidenziato che il farmaco permette di ottenere una significativa riduzione della trigliceridemia.

In particolare, l'azione del farmaco si basa sul blocco dell'espressione genica di una proteina che ostacola il metabolismo dei trigliceridi e la cui neutralizzazione è in grado di attivare la degradazione di questi grassi dal sangue. Nel corso della somministrazione, i pazienti che hanno ricevuto il farmaco con iniezioni sottocute una volta alla settimana hanno visto ridursi la trigliceridemia del 77% dopo solo 3 tre mesi, e tale riduzione si manteneva fino alla fine dello studio. Inoltre, nella maggior parte dei pazienti tali valori scendevano al di sotto del livello di rischio di pancreatite.

“Il nostro lavoro – spiega Marcello Arca – ci permette di essere ottimisti su una cura per una malattia così rara e finora considerata “orfana”. Il farmaco deve essere usato da mani esperte perché può dare origine a qualche effetto avverso che però nel corso del nostro anno di studio si è dimostrato controllabile. Aspettiamo fiduciosi l'esame dell'Agenzia italiana del farmaco per la prescrizione in Italia”.

Università degli Studi di Roma “La Sapienza”  
CF 80209930587 PI 02133771002

Capo Ufficio Stampa: Alessandra Bomben

Addetti Stampa: Christian Benenati - Marino Midena - Barbara Sabatini - Stefania Sepulcri

Piazzale Aldo Moro 5, 00185 Roma

T (+39) 06 4991 0035 - 0034 F (+39) 06 4991 0399

comunicazione@uniroma1.it stampa@uniroma1.it www.uniroma1.it



I risultati, che hanno ottenuto una prima approvazione da parte della Agenzia europea del farmaco (Ema), aprono la strada a possibili cure e creano le basi per le prime e innovative terapie.

**Riferimenti:**

*Volanesorsen and Triglyceride Levels in Familial Chylomicronemia Syndrome* - Joseph L. Witztum, M.D., Daniel Gaudet, M.D., Ph.D., Steven D. Freedman, M.D., Ph.D., Veronica J. Alexander, Ph.D., Andres Digenio, M.D., Ph.D., Karren R. Williams, Ph.D., Qingqing Yang, M.D., Steven G. Hughes, M.B., B.S., Richard S. Geary, Ph.D., Marcello Arca, M.D., Erik S.G. Stroes, M.D., Ph.D., Jean Bergeron, M.D., Handrean Soran, M.D., Fernando Civeira, M.D., Linda Hemphill, M.D., Sotirios Tsimikas, M.D., Dirk J. Blom, M.D., Ph.D., Louis O'Dea, M.D., and Eric Bruckert, M.D. et al. August 8, 2019 *N Engl J Med* 2019; 381:531-542. DOI: 10.1056/NEJMoa1715944

**Info**

Marcello Arca  
Dipartimento di Medicina interna e specialità mediche, Sapienza Università di Roma  
T (+39) 06 4997 4550 M(+39) 333 2569355  
marcello.arca@uniroma1.it

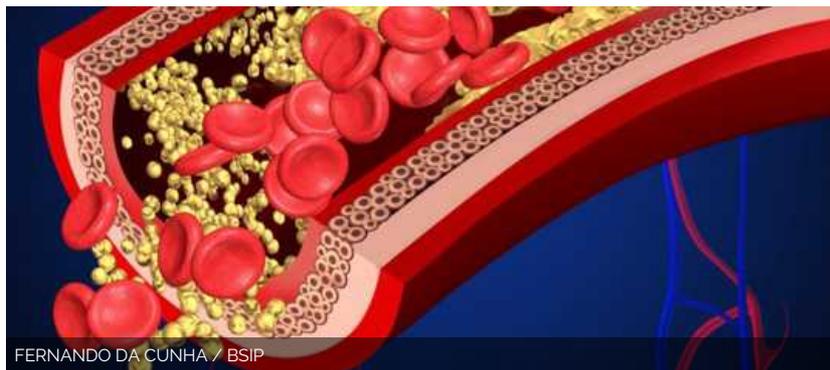
AGI > Salute



# C'è un nuovo farmaco che combatte i trigliceridi alti. Uno studio

Il volanesorsen riduce il rischio pancreatite acuta nei pazienti affetti da sindrome di iperchilomicronemica. A dimostrarlo è stato uno studio internazionale, a cui ha partecipato l'Università Sapienza di Roma

| 08 agosto 2019, 14:38



## TRIGLICERIDI

Il **volanesorsen**, un farmaco innovativo, riduce il rischio pancreatite acuta nei pazienti che, a causa della sindrome iperchilomicronemica, hanno alti livelli di **trigliceridi**. A dimostrarlo è stato uno studio internazionale, a cui ha partecipato l'Università Sapienza di Roma. I risultati sono stati pubblicati sul New England Journal of Medicine. La sindrome iperchilomicronemica è una rara malattia genetica causata da un grave deficit nel sistema enzimatico che riguarda lo smaltimento dei trigliceridi nel sangue, soprattutto quelli che si formano dopo un pasto. È caratterizzata da livelli molto alti di trigliceridi (tipicamente 2000-3000 mg/dl, rispetto a livelli normali inferiori a 150 mg/dl) e si accompagna a un elevato rischio di pancreatite acuta, una complicanza che oltre a causare la distruzione del pancreas espone chi ne è colpito al pericolo di morte.

Il volanesorsen permette di ottenere una significativa riduzione della trigliceridemia. In particolare, l'azione del farmaco si basa sul blocco dell'espressione genica di una proteina che ostacola il metabolismo dei trigliceridi e la cui neutralizzazione è in grado di attivare la degradazione di questi grassi dal sangue. Nel corso della somministrazione, i pazienti che hanno ricevuto il farmaco con iniezioni sottocute una volta alla settimana hanno visto ridursi la trigliceridemia del 77 per cento dopo solo 3 tre mesi, e questa riduzione si manteneva fino alla fine dello studio.

agi video



Il cerotto che riduce il dolore



Gli occhiali universali che cambiano gradazione da soli



La scoperta italiana che cambia la lotta al cancro

Inoltre, nella maggior parte dei pazienti tali valori scendevano al di sotto del livello di rischio di pancreatite.

"Il nostro lavoro - spiega Marcello Arca, uno degli autori dello studio della Sapienza - ci permette di essere ottimisti su una cura per una malattia così rara e finora considerata 'orfana'. Il farmaco deve essere usato da mani esperte perché può dare origine a qualche effetto avverso che però nel corso del nostro anno di studio si è dimostrato controllabile. Aspettiamo fiduciosi l'esame dell'Agenzia italiana del farmaco per la prescrizione in Italia". I risultati, che hanno ottenuto una prima approvazione da parte della Agenzia europea del farmaco (Ema), aprono la strada a possibili cure e creano le basi per le prime e innovative terapie.

*Se avete correzioni, suggerimenti o commenti scrivete a [dir@agi.it](mailto:dir@agi.it).  
Se invece volete rivelare informazioni su questa o altre storie, potete scriverci su [Italialeaks](#), piattaforma progettata per contattare la nostra redazione in modo completamente anonimo.*

NAZIONALE, SALUTE

# Chilomicronemia: volanesorsen riduce i trigliceridi

27 AGOSTO 2019 by CORNAZ

**S**indrome da chilomicronemia familiare, volanesorsen riduce i trigliceridi: pubblicati i risultati clinici di Fase III del farmaco, il primo approvato in Europa per la malattia



Con il farmaco volanesorsen è possibile ottenere un calo dei trigliceridi che mette al riparo i pazienti dalla conseguenza più grave della **sindrome da chilomicronemia familiare**: la pancreatite acuta. **A stabilirlo sono i risultati finali dello studio di Fase III Approach**, che sono stati pubblicati nel numero dell'8 agosto del *New England Journal of Medicine*.

La **sindrome da chilomicronemia familiare (FCS)** è una malattia debilitante ultra-rara: si stima che le persone affette siano fra le 3.000 e le 5.000 in tutto il mondo. È causata dalla funzione compromessa dell'enzima lipoproteina lipasi



Metotrexato, AIFA: nuove misure per evitare errori dosaggio



Ipercolesterolemia: testato farmaco sperimentale



Artrosi: oltre 4 milioni gli italiani colpiti



Peste di Giustiniano: ricostruiti 8 genomi



Squalo verdesca "sentinella" dell'Adriatico



Estrazione Superenalotto 24 agosto: esultano i 5



Estrazione Million Day 26 agosto: i numeri vincenti



Acromegalia: nuovo progetto pilota in Italia



Estrazione Eurojackpot 23 agosto: centrato il 5+2



Glioblastoma: nuove "risposte" contro aggressività

(LPL), responsabile della scomposizione dei chilomicroni, lipoproteine ricche di trigliceridi. Ciò **si traduce in livelli estremamente elevati di trigliceridi che possono provocare una pancreatite acuta imprevedibile e potenzialmente fatale**, nonché complicazioni croniche dovute a danni permanenti agli organi. I pazienti possono sperimentare sintomi quotidiani, tra cui dolori addominali, stanchezza generalizzata e disturbi cognitivi.

“I risultati dello studio Approach indicano che nella maggior parte dei pazienti **volanesorsen abbassa i livelli di trigliceridi al di sotto della soglia di rischio di pancreatite acuta** indotta da trigliceridi”, ha affermato il **dr. Marcello Arca**, professore associato di Medicina Interna presso l'Università Sapienza di Roma e responsabile del Centro di Riferimento Malattie Rare del Metabolismo Lipidico del Policlinico Umberto I di Roma. **“La pancreatite acuta è una delle conseguenze più gravi della FCS: causa ricoveri ospedalieri, la perdita di giorni di scuola o di lavoro, riduce il tempo dedicato alla famiglia e comporta il rischio di danni permanenti agli organi e di decesso. Volanesorsen è un trattamento promettente che potrebbe ridurre in modo significativo l'onere della malattia per i pazienti e le loro famiglie”.**

**Approach** è uno studio clinico di Fase III, randomizzato in doppio cieco e controllato con placebo, progettato per valutare la sicurezza e l'efficacia di volanesorsen nei pazienti con FCS. È lo studio più ampio mai condotto finora in questa malattia, e ha coinvolto 66 pazienti in 40 diversi centri di trattamento in 12 Paesi. I risultati dello studio mostrano che i pazienti con FCS trattati con il farmaco per tre mesi hanno ottenuto una **riduzione media statisticamente significativa dei trigliceridi: il 77% rispetto al basale e il 94% rispetto al placebo**. Nello stesso periodo di tempo anche i livelli di apolipoproteina C-III (apoC-III) sono diminuiti in media dell'84% rispetto al basale. Gli eventi avversi più comuni sono stati reazioni al sito di iniezione e riduzione dei livelli piastrinici.

**Volanesorsen** (nome commerciale Waylivra) è un **oligonucleotide antisense** progettato da Ionis Pharmaceuticals e sviluppato insieme alla consociata Akcea Therapeutics per ridurre la produzione di apolipoproteina C-III, una proteina prodotta nel fegato che svolge un ruolo centrale nella regolazione dei trigliceridi plasmatici. Lo scorso 7 maggio **il farmaco ha ricevuto dalla Commissione Europea l'autorizzazione condizionata all'immissione in commercio come supplemento alla dieta in pazienti adulti con FCS** geneticamente confermata e alto rischio di pancreatite, nei quali la risposta alla dieta e alla terapia per la riduzione dei trigliceridi è stata inadeguata. Il farmaco si presenta come una siringa preriempita monouso, che il paziente si può autosomministrare con un'iniezione sottocutanea.

“Siamo molto soddisfatti che il *New England Journal of Medicine* abbia riconosciuto il significato dei dati di Approach e il potenziale di **volanesorsen** nell'affrontare un'area di significativa necessità insoddisfatta nel trattamento della FCS”, ha dichiarato **Louis O'Dea**, Chief Medical Officer di Akcea Therapeutics. “Si tratta dell'unico trattamento approvato per la FCS, e attualmente **ci stiamo preparando a renderlo disponibile ai pazienti in Europa**, a partire dalla Germania nel corso di questo mese. La nostra speranza

è che saremo in grado di offrire volanesorsen ai pazienti con FCS anche in altre aree geografiche che hanno il disperato bisogno di un trattamento approvato”.

“Questa pubblicazione dei risultati dello studio Approach e la recente approvazione di volanesorsen nell’Unione Europea dimostrano chiaramente il profilo di sicurezza ed efficacia del farmaco per i pazienti con FCS”, ha affermato **Brett P. Monia**, Chief Operating Officer di Ionis Pharmaceuticals. “Noi e Akcea ci stiamo concentrando sulla distribuzione di questa medicina tanto necessaria ai pazienti, che stanno aspettando di avere volanesorsen come opzione di trattamento”.

TAGS: **CHILOMICRONEMIA, MALATTIE RARE, OSSERVATORIO MALATTIE RARE, TRIGLICERIDI**



**CORNAZ**

## Related News



Acromegalia: nuovo progetto pilota in Italia



Sindrome intestino corto: in Italia un nuovo farmaco



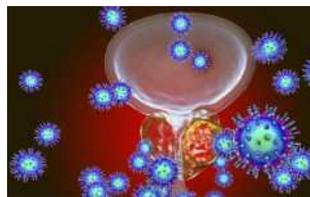
Distrofia di Duchenne: verso la Giornata mondiale



Iperossaluria secondaria: nuovo farmaco riduce ossalato



Sindrome di Sjogren: specialisti a confronto



Tumore alla vescica: test su radioterapia adiuvante

NAZIONALE, SALUTE

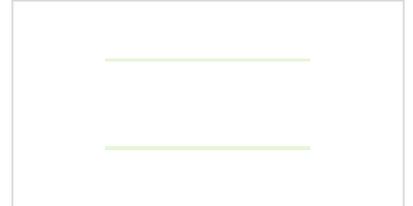
# Sindrome iperchilomicronemica: speranze da nuovo farmaco

10 AGOSTO 2019 by CORNAZ

 **S**indrome iperchilomicronemica: un nuovo studio de La Sapienza dimostra l'efficacia del farmaco volanesorsen. I pazienti hanno visto ridursi la trigliceridemia del 77% dopo soli 3 tre mesi



Si chiama sindrome iperchilomicronemica (FCS), è una rara malattia genetica causata da un grave difetto nel sistema enzimatico che favorisce lo smaltimento dei trigliceridi nel sangue, soprattutto quelli che si formano dopo un pasto. Al livello molto elevato che i trigliceridi possono raggiungere nei



Concorso Dirigenti Scolastici, l'assegnazione regionale



Insufficienza Respiratoria Cronica: nuovo sistema di gestione



Estrazione Eurojackpot 9 agosto: esultano i 5+1



Primo trapianto di fegato dopo metastasi da cancro al seno



Carenza Catapresan: gli aggiornamenti dell'AIFA



Psoriasi a placche, apremilast riduce segni sul cuoio capelluto



Estrazione Superenalotto 8 agosto: esultano i 5



Estrazione Million Day 9 agosto: i numeri vincenti



Herpes zoster: pazienti con IBD più a rischio ricovero



Rene policistico: farmaco riduce necessità dialisi

pazienti affetti da FCS (tipicamente 2000-3000 mg/dl, rispetto a livelli normali inferiori a 150 mg/dl), si associa il rischio di una pancreatite acuta, pericolosa complicanza che oltre a causare la distruzione dell'organo espone chi ne è colpito al rischio di morte.

**Fino ad oggi, la sindrome iperchilomicronemica era da considerarsi** una malattia orfana in quanto non esisteva nessuna cura veramente efficace che evitasse ai pazienti il ripetersi di pericolosi episodi di pancreatite acuta.

**Ora, invece, grazie allo studio portato avanti dal gruppo di ricerca** di cui ha fatto parte il prof. **Marcello Arca** del Dipartimento di Medicina Interna e Specialità Mediche della Sapienza, componente della rete delle Malattie Rare del Policlinico Umberto I di Roma, è dimostrata l'efficacia di un farmaco, il volanesorsen, che permette di ottenere una significativa riduzione della trigliceridemia nei pazienti affetti da FCS.

“Lo studio – spiega l'Università in una nota – è durato circa un anno; i pazienti che hanno acconsentito alla sperimentazione del farmaco attraverso iniezioni sottocute una volta alla settimana, hanno visto ridursi la trigliceridemia del 77% dopo soli 3 tre mesi. Riduzione che si è mantenuta fino alla fine della ricerca. Inoltre, nella maggior parte dei pazienti, i valori di trigliceridemia sono scesi al di sotto del livello di rischio di pancreatite”.

**Il volanesorsen rappresenta un farmaco innovativo**, la cui azione si basa sul blocco della espressione genica di una proteina che ostacola il metabolismo dei trigliceridi. La neutralizzazione di questa proteina è in grado di attivare la degradazione dei grassi nel sangue.

**“Sulla base di questi risultati, che sono stati pubblicati oggi** sulla prestigiosa rivista scientifica *New England Journal of Medicine*, il volanesorsen ha ottenuto già l'approvazione dell'Agenzia Europea del Farmaco (EMA). Ci auguriamo ora – dichiara il prof. **Marcello Arca**, componente della rete delle Malattie Rare del Policlinico Umberto I – possa esser al più presto preso in esame dalla AIFA, per arrivare alla sua prescrizione in Italia”.

TAGS: FARMACI, LA SAPIENZA, MEDICINALI, RICERCA SCIENTIFICA, SINDROME IPERCHILOMICRONEMICA



CORNAZ

## Related News





HOME » NEWS

## Trigliceridi alti: un nuovo farmaco aiuta a combatterli

Nuovo farmaco in soccorso di chi soffre della sindrome iperchilomicronemica e che manifesta dunque valori di trigliceridi molto elevati

A cura di Antonella Petris | 8 Agosto 2019 16:29



Un nuovo **farmaco** è in grado di ridurre i **trigliceridi alti** in pazienti che soffrono della **sindrome iperchilomicronemica** e che quindi potrebbero presentare **pancreatiche acute**. Si tratta del **volanesorsen**. Lo rivela uno studio internazionale a cui ha partecipato l'**Università Sapienza di Roma** e che è stato pubblicato sul *New England Journal of Medicine*.

La sindrome iperchilomicronemica è una rara malattia genetica causata da un grave deficit nel sistema enzimatico che riguarda lo smaltimento dei trigliceridi nel sangue, soprattutto quelli che si formano dopo un pasto. E' caratterizzata da **livelli molto alti di trigliceridi** (tipicamente 2000-3000 mg/dl, rispetto a livelli normali inferiori a 150 mg/dl) e si accompagna a un **elevato rischio di pancreatite acuta**, una complicanza che oltre a causare la distruzione del pancreas espone chi ne è colpito al pericolo di morte. Il volanesorsen permette di ottenere una significativa riduzione della trigliceridemia. (AGI) Red/Pot (

Il farmaco agisce sul blocco dell'espressione genica di una proteina che ostacola il metabolismo dei trigliceridi e la cui neutralizzazione è in grado di attivare la degradazione di questi grassi dal sangue.

*"Il nostro lavoro – spiega Marcello Arca, uno degli autori dello studio della Sapienza – ci permette di essere ottimisti su una cura per una malattia così rara e finora considerata 'orfana'. Il farmaco deve essere usato da mani esperte perché può dare origine a qualche effetto avverso che però nel corso del nostro anno di studio si è dimostrato controllabile. Aspettiamo fiduciosi l'esame dell'Agenzia italiana del farmaco per la prescrizione in Italia".* I risultati, che hanno ottenuto una prima approvazione da parte della Agenzia europea del farmaco (Ema), aprono la strada a possibili cure e creano le basi per le prime e innovative



terapie.

### Valuta questo articolo

Rating: **5.0/5**. From 1 vote.

T

### INFORMAZIONI PUBBLICITARIE

**NETWORK** [StrettoWeb](#) [CalcioWeb](#) [SportFair](#) [eSporters](#) [Mitindo](#)

**PARTNERS** [Corriere dello Sport](#) [Tutto Sport](#) [Infoit](#) [StrettoNet](#) [Tecnoservizi Rent](#)



FACEBOOK



TWITTER



INSTAGRAM



EMAIL



RSS