

Corriere della Sera – 12.6.2023

[Un nuovo farmaco migliora l'anemia e riduce il bisogno di trasfusioni nei malati con sindromi mielodisplastiche- Corriere.it](#)

Un nuovo farmaco migliora l'anemia e riduce il bisogno di trasfusioni nei malati con sindromi mielodisplastiche

Storia di Vera Martinella • Ieri 11:27



(Getty Images)© Fornito da Corriere della Sera

Per la prima volta dopo 40 anni c'è una nuova cura, più efficace di quelle finora disponibili, per trattare l'anemia nei malati con **sindromi mielodisplastiche** (anche dette mielodisplasie), **rari tumori del sangue** diagnosticati ogni anno a circa **tremila italiani, perlopiù ultrasettantenni**. Quasi tutti soffrono di **anemia** a livello tale da costringerli a continue trasfusioni, con un impatto molto negativo non solo sulla qualità di vita, ma anche sulla sopravvivenza. La buona notizia arriva dagli esiti dello [studio COMMANDS](#), presentati a Chicago al **congresso annuale dell'Associazione Americana di Oncologia Medica (Asco)** e attesi nella sessione plenaria, quella principale, del convegno dell'European Hematology Association (Eha) appena iniziato a Francoforte. A spiegare al *Corriere* l'importanza di questa novità è **Matteo Della Porta, direttore dell'Unità Leucemie all'Istituto Clinico Humanitas di Milano**, che esporrà i dati finali della sperimentazione in Germania il

10 giugno prossimo, quando verranno pubblicati in contemporanea sulla prestigiosa rivista scientifica *The Lancet* ([Efficacia e sicurezza di luspatercept versus epoetina alfa nelle sindromi mielodisplastiche a basso rischio naïve, trasfusione-dipendenti, a basso rischio \(COMMANDS\): analisi ad interim di uno studio di fase 3, in aperto, randomizzato controllato - ScienceDirect.](#)

Professor Della Porta, cosa c'è di tanto rilevante in questo studio? «In chi soffre di mielodisplasia la terapia di riferimento per l'anemia per decenni è stata l'eritropoietina, ma circa il 30% dei pazienti non è candidabile a riceverla oppure è refrattario, cioè non ne trae beneficio, e su un altro 30% ha un effetto molto limitato (inferiore a un anno). Dopo 40 anni di ricerche, luspatercept è il primo farmaco che ha dimostrato una superiorità rispetto a eritropoietina sia in termini di percentuale di risposte (ovvero funziona in un numero maggiore di persone) sia nella durata della cura, in tutti i sottotipi di sindrome mielodisplastica a basso rischio».

Cosa sono di preciso le sindromi mielodisplastiche? «Si tratta di [un eterogeneo gruppo di rare patologie del sangue che fino a pochi anni fa erano considerate incurabili](#), mentre oggi possono cominciare a beneficiare di terapie che migliorano in modo importante la vita dei pazienti. Si tratta di sottotipi molto diversi fra loro, che vanno da condizioni "indolenti" (cioè a lenta progressione che non fanno differenza sull'aspettativa di vita del diretto interessato) a casi che progrediscono rapidamente verso una leucemia mieloide acuta. La causa è sempre un danneggiamento delle cellule staminali del midollo osseo che non riescono a produrre una quantità adeguata di cellule del sangue funzionali e questo porta a una carenza di globuli bianchi, globuli rossi e/o piastrine».

Da qui derivano: anemia, piastrinopenia e infezioni ricorrenti. Quali le terapie? «Fino a pochi anni fa il trattamento dei pazienti era basato quasi esclusivamente sulla terapia di supporto che mirava a mitigare i sintomi, soprattutto legati all'anemia (presente in quasi tutti i pazienti), mentre oggi sono arrivate [terapie sempre più efficaci e che migliorano in modo importante la vita dei malati](#). I farmaci da somministrare sono differenti e vengono prescritti in base a determinati criteri che prendono in considerazione il sottotipo specifico di sindrome di cui soffre la persona, come evolve, le reazioni e la qualità di vita. Iniziamo anche a [capire meglio chi è più a rischio di leucemia acuta](#) e quindi candidabile al trapianto».

Lo studio COMMANDS, però, riguarda i malati a basso rischio di evoluzione leucemica. Quali sono gli esiti più importanti a cui siete giunti? «La sperimentazione (di fase 3) ha reclutato 354 persone con sindrome mielodisplastica

a basso rischio e dipendenti da trasfusioni a causa dell'anemia. I partecipanti, in media 74enni, sono stati divisi in due gruppi e curati per almeno 24 settimane: 178 hanno ricevuto un'iniezione di [luspatercept \(il medicinale innovativo già approvato in Italia\)](#) ogni tre settimane, gli altri 176 malati sono invece stati curati con la terapia standard a base di eritropoietina, sempre per via endovenosa, una volta a settimana. I risultati mostrano che luspatercept ha quasi raddoppiato il numero di persone rese indipendenti dalle trasfusioni di sangue: ovvero 86 partecipanti (il 58,5%) rispetto ai 48 (31,2%) curati con eritropoietina. Inoltre la durata della risposta alla cura è stata significativamente più lunga per chi ha ricevuto il nuovo farmaco che ha un'azione mirata sul midollo, dove stimola la differenziazione dei globuli rossi. Non presenta effetti collaterali significativi ed è quindi ben tollerato: un fatto molto importante perché ci riferiamo a una popolazione di pazienti spesso anziani e fragili».

Quali sono le conseguenze più immediate per i malati? «Circa il 70% dei pazienti con mielodisplasia è a basso rischio e più o meno altrettanti hanno bisogno di trasfusioni, quindi questa è una buona notizia per moltissime persone. Sulla base di questi risultati luspatercept potrebbe diventare la nuova terapia di prima linea, quella standard. I vantaggi per i malati sono numerosi, a partire dal fatto che dovranno recarsi con meno frequenza in ospedale per le cure. E poi migliora la quotidianità e si allunga la sopravvivenza, visto che l'anemia severa (ovvero quella che richiede l'esecuzione di trasfusioni di globuli rossi) è il sintomo clinico più importante, che determina una significativa riduzione della capacità funzionale e della qualità di vita del paziente e causa una riduzione dell'aspettativa di vita (soprattutto contribuendo a un aumentato rischio di altre patologie e mortalità cardiaca)».