

Policitemia Vera, i risultati dello studio FROM pubblicati da NEJM Evidence, del gruppo del New England Journal of Medicine

La ricerca promossa a Bergamo ha coinvolto 127 pazienti e 22 centri di Ematologia in tutta Italia, e ha evidenziato l'efficacia del farmaco ropeginterferone alfa-2b nel controllare la progressione, i sintomi e la qualità di vita dei pazienti con Policitemia Vera, malattia rara che riduce la sopravvivenza.

Tiziano Barbui, Primario Emerito di Ematologia e Direttore scientifico FROM – Fondazione per la Ricerca Ospedale di Bergamo ETS: «I risultati ottenuti modificano sostanzialmente la terapia dei pazienti con Policitemia Vera, attualmente trattati con salassi. Migliorano qualità di vita e sintomi generali. Le linee guida internazionali dovranno tener conto di questi risultati, ottenuti con un farmaco ben tollerato e a dosi relativamente basse».

COMUNICATO STAMPA

Bergamo, 23 maggio 2023 – I risultati finali dello studio “Low-PV” sul trattamento della Policitemia Vera, promosso da FROM – Fondazione per la Ricerca Ospedale di Bergamo ETS, sono stati pubblicati su **NEJM Evidence, parte del gruppo del New England Journal of Medicine**, una delle riviste scientifiche più prestigiose al mondo dedicate alle pubblicazioni accademiche e alla ricerca in ambito medico.

È il frutto di un lavoro di sei anni condotto da un **team di ricercatori FROM coordinati da Tiziano Barbui**, Direttore scientifico della Fondazione che dal 2008 promuove e testimonia come presso l'Ospedale Papa Giovanni XXIII di Bergamo la ricerca possa essere di alto livello tanto da meritare l'interesse di riviste scientifiche di alto prestigio internazionale. Lo studio ha coinvolto **127 pazienti** di età compresa fra 18 e 60 anni e **22 centri di Ematologia in tutta Italia**. L'austriaca **AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH (AOP Health)** ha supportato economicamente lo studio con un grant dedicato e la fornitura gratuita del farmaco.

I risultati finali di questa ricerca sono stati presentati al **64esimo convegno annuale dell'American Society of Hematology (ASH)** organizzato nel dicembre 2022 a New Orleans. Ora, dopo un accurato processo di revisione, la pubblicazione dei risultati su NEJM Evidence, punto di riferimento internazionale in ambito scientifico e accademico, che porta ancora una volta il nome di Bergamo nel mondo.

LO STUDIO “LOW-PV”

La **Policitemia Vera** è un tumore raro caratterizzato da un eccesso di produzione midollare di globuli rossi (spesso anche di globuli bianchi e piastrine), e comporta un rischio aumentato di complicazioni trombotiche cerebrali, infarti, embolia polmonare e trombosi delle vene addominali. I pazienti con Policitemia Vera di età inferiore a 60 anni senza eventi vascolari pregressi sono attualmente classificati come a basso rischio di complicanze cardiovascolari maggiori, sia arteriose che venose.

La terapia per questa tipologia di pazienti comprende la flebotomia (salassoterapia) e l'utilizzo di basse dosi di aspirina. Questo trattamento però non è in grado di ridurre in maniera apprezzabile l'incidenza di trombosi, che rimane due volte maggiore rispetto alla popolazione generale. Già in un precedente studio a cura di Tiziano Barbui, pubblicato sul NEJM nel 2013, si era evidenziato che per ridurre queste complicazioni – anche mortali – si doveva tenere l'ematocrito a valori inferiori al 45%: la sola salassoterapia è in grado di raggiungere questo risultato solo nel 20-30% dei pazienti.

Sulla base di questi dati, il team di ricerca FROM ha lanciato “Low-PV” – un *clinical trial* randomizzato di fase II – che ha confrontato l'effetto di un farmaco citoriduttivo (in grado cioè di tenere sotto controllo il numero delle cellule ematiche che tendono a proliferare a causa della malattia), il **ropeginterferone alfa-2b**, con la terapia standard (salassi e aspirina). I risultati dello studio “Low-PV” hanno dimostrato che **l'aggiunta di ropeginterferone alfa-2b non solo riduce già dopo i primi 12 mesi di trattamento il numero di salassi necessari ad ottenere valori ideali di ematocrito, ma controlla anche i sintomi** – tra cui fatica, perdita di peso, febbre, dolori ossei, sudorazioni notturne e dolore addominale, ingrossamento della milza –, comporta **miglioramenti generali della qualità di vita dei pazienti** e, infine, **limita la progressione della malattia in forme più gravi quali la mielofibrosi o la leucemia**.

Anche i risultati dello studio “Low-PV” condotto da FROM hanno quindi portato AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) alla decisione di rendere il **farmaco rimborsabile da parte del Sistema Sanitario Nazionale**, secondo precise indicazioni definite dall'Agenzia, e a raccomandarlo in alcuni sottogruppi di pazienti.

*«Lo studio Low-PV mostra che i pazienti con Policitemia Vera a basso rischio traggono benefici significativi dalla somministrazione di ropeginterferone alfa-2b – spiega **Tiziano Barbui**, Primario Emerito di Ematologia e Direttore scientifico di FROM – Fondazione per la Ricerca Ospedale di Bergamo ETS – Il basso dosaggio del farmaco si è dimostrato sicuro, ben tollerato e più efficace rispetto ai soli salassi, anche nel limitare la progressione della malattia. Gli esiti dalla ricerca, pubblicati su NEJM Evidence, sono di supporto alle linee guida dell'European Leukemia Net (ELN) recentemente pubblicate e a quelle americane del National Comprehensive Cancer Network (NCCN)”.*

LA COLLABORAZIONE CON AOP Health

*«Gli interferoni sono stati usati per molti anni nel trattamento della Policitemia Vera nella pratica clinica, sulla base di osservazioni non controllate. Dobbiamo dar credito a AOP Health di aver condotto studi clinici con controlli così importanti da aver permesso la registrazione di un interferone per questa malattia – precisa Barbui. Gli enti regolatori europei e americani (EMA e FDA) hanno registrato il farmaco sulla base di un lungo studio randomizzato di fase 3 condotto in Europa, al quale si è aggiunto anche lo studio “Low-PV” che **FROM ha promosso e condotto in centri italiani**. Lo studio FROM ha indagato l'efficacia del farmaco anche in una popolazione di pazienti in **fase iniziale della malattia**, ottenendo risultati ancora più promettenti rispetto a quelli ottenuti nei pazienti in fasi più avanzate.*

AOP Health ha riconosciuto le capacità scientifiche e organizzative di FROM contribuendo significativamente alla realizzazione e al successo del progetto. Ora la collaborazione con AOP Health italiana continuerà con nuovo studio che intende raccogliere informazioni sull'utilizzo di questo farmaco nella pratica clinica».

L'articolo contenente i risultati dello studio "Low-PV" è disponibile e consultabile gratuitamente per 30 giorni al seguente link: <https://evidence.nejm.org/doi/full/10.1056/EVIDoa2200335>

Ufficio stampa FROM
Elisabetta Olivari – Daniele Cavalli
elisabetta@elisabettaolivari.it
Mobile +39 339 3317089