



comunicato stampa

EMOFILIA B: DISPONIBILE IN ITALIA NUOVA TERAPIA SOSTITUTIVA

La profilassi con nonacog beta pegol, fattore IX ricombinante con formulazione a rilascio prolungato, fornisce livelli medi di attività del fattore IX (trough level) che contribuiscono a controllare i sanguinamenti tra una somministrazione e l'altra¹⁻³

Roma, 13 febbraio 2023 – Novità per le persone con emofilia B in Italia. È infatti disponibile anche nel nostro Paese nonacog beta pegol (Refixia®, Novo Nordisk), fattore IX ricombinante ad emivita prolungata.

L'emofilia è una malattia rara, di origine genetica, caratterizzata dalla carenza di uno specifico fattore della coagulazione del sangue. «*Si manifesta quasi esclusivamente nei maschi, mentre le donne possono essere portatrici sane, e si eredita attraverso il cromosoma X* - spiega **Maria Elisa Mancuso, Centro Trombosi e Malattie Emorragiche, Humanitas Research Hospital, Rozzano**. *La forma più comune è l'emofilia A, causata da deficit del fattore VIII della coagulazione, che colpisce circa 1 ogni 5-10.000 nati maschi, ancora più rara è l'emofilia B, legata alla carenza del fattore IX, che ha una incidenza pari a 1 nuovo caso su 30-50.000 nati maschi, ossia circa mille italiani. Entrambe le patologie nella loro forma grave sono caratterizzate da frequenti sanguinamenti spontanei o a seguito di minimi traumi; la gravità e la frequenza degli episodi emorragici dipendono infatti dal livello di attività biologica residua del fattore della coagulazione coinvolto*».

La gravità della malattia è direttamente legata all'entità del deficit del fattore della coagulazione. Se l'attività biologica del fattore della coagulazione è inferiore all'1 per cento, la Federazione Mondiale dell'Emofilia (WHF) definisce la malattia 'grave', con emorragie spontanee frequenti e sanguinamenti anomali, anche causati da piccoli traumi; se l'attività è compresa tra l'1 e il 5 per cento, l'emofilia si definisce 'moderata'; tra il 5 e il 40 per cento, 'lieve'. Oltre il 40 per cento, la WHF parla di 'range di non emofilia'. «*L'obiettivo da raggiungere con le terapie per l'emofilia B è quello di mantenere i livelli di attività del fattore IX per il maggior tempo possibile nel range di non emofilia così da consentire alle persone che vivono con la malattia, di raggiungere l'obiettivo di una vita quasi priva di sanguinamenti. Nonacog beta pegol con la sua formulazione a rilascio prolungato, fornisce livelli medi del fattore IX (trough level) in adolescenti e adulti che contribuiscono a controllare i*

sanguinamenti tra una somministrazione e l'altra», sottolinea **Rita Carlotta Santoro, Responsabile dell'UO Emofilia, Emostasi e Trombosi dell'Azienda Ospedaliera Pugliese-Ciaccio di Catanzaro.** ¹⁻²⁻³

«La profilassi settimanale con nonacog beta pegol ha contribuito nella prevenzione degli emartri e nel preservare lo status osteoarticolare del paziente emofilico, come documentato nei pazienti arruolati nel trial clinico di estensione», aggiunge **Renato Marino, Dirigente Medico presso Azienda Ospedaliero Universitaria di Bari Centro Emofilia e Trombosi.** «Inoltre, nonacog beta pegol può contribuire anche nel controllo delle emorragie negli interventi di chirurgia maggiore». ⁴⁻⁵

Novo Nordisk

Novo Nordisk è un'azienda leader a livello mondiale nel settore sanitario, fondata nel 1923 e con sede in Danimarca. Il nostro obiettivo è guidare il cambiamento per sconfiggere il diabete e altre gravi malattie croniche come l'obesità, l'emofilia, i disturbi della crescita. Facciamo questo attraverso scoperte scientifiche pionieristiche, ampliando l'accesso ai nostri farmaci e lavorando per prevenire e infine curare le malattie. Novo Nordisk ha circa 50.000 dipendenti in 80 Paesi e commercializza i suoi prodotti in circa 170 Paesi. Per maggiori informazioni novonordisk.com, Facebook, Twitter, LinkedIn, YouTube.

Bibliografia:

1. Refixia® Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto dicembre 2022.
2. Collins PW et al. Recombinant long acting glycoPEGylated factor IX in hemophilia B: a multinational randomized phase 3 trial. Blood 2014; 124 (26): 3880-3886.c
3. Tiede A et al. Pharmacokinetics of a novel extended half-life glycoPEGylated factor IX, nonacog beta pegol (N9-GP) in previously treated patients with haemophilia B: results from two phase 3 clinical trials. Haemophilia 2017; 23: 547-555.
4. Young Nonacog beta pegol (N9-GP) in haemophilia B: A multinational phase III safety and efficacy extension trial (paradigm™4) Thromb Res. 2016 May; 141:69-76
5. Escobar Low-factor consumption for major surgery in haemophilia B with long-acting recombinant glycoPEGylated factor IX. Haemophilia. 2017 Jan;23(1):67-76.

Novo Nordisk Italia

Arianna Baroni, mob. +39 347 0786417, email arbi@novonordisk.com

Ufficio stampa Novo Nordisk

Hill+Knowlton Strategies

Laura Fezzigna, mob. +39 347 4226427, email laura.fezzigna@hkstrategies.com

Aurora Marchetti, mob. +39 340 5926048, email marchetti.consultant@hkstrategies.com

Codice campo modificato

Codice campo modificato

Codice campo modificato