Il prezzo della vita: terapia self-service nell'emofilia

Data 30 dicembre 1999
Categoria scienze_varie

Il trattamento dell' emofilia si arricchisce di una nuova arma, piu' pratica ed efficace, idonea a contrastare gli anticorpi inibitori che spesso rendono difficile la terapia. Tale trattamento e' gravato pero' da un costo molto alto.
In un elevato numero di soggetti affetti da emofilia A (secondo alcuni addirittura il 50%) si sviluppano infatti particolari anticorpi che inibiscono e rendono inattivo il fattore VIII, somministrato a questi malati per rimpiazzare il fattore naturale e ristabilire la coagulabilita' del sangue. In questi sfortunati pazienti, per ripristinare l' emostasi, sono stati proposti e utilizzati vari trattamenti: dalla somministrazione di fattore VIII di derivazione porcina (che deve pero' essere attentamente controllata perche' puo' dare origine a reazioni allergiche) a quella di altri agenti, come il concentrato protrombina-complesso (PCC) non sempre efficace e che puo' indurre ipercoagulabilita' del sangue. Ma grazie allo sviluppo delle tecnologie ricombinanti e' stata recentemente ottenuta un' altra sostanza, il fattore VIII attivato, che permette di superare l' impasse causato dalla carenza di fattore VIII e dall' impossibilita' di somministrarlo. Puo' essere usato dallo stesso malato, per il trattamento di emergenza (in caso ad esempio di emorragie improvvise) ed ha le potenzialita' per diventare uno strumento sicuro ed efficace. E' stato sperimentato da una decina di pazienti che lo hanno impiegato per trattare a casa, senza necessita' di intervento medico, 45 versamenti ematici intraarticolari e 8 ematomi.L' efficacia e' stata piena nell' 80% dei casi, e parziale del 10%. L' efficacia del farmaco deriva dalla precocita' della somministrazione; e' importante che venga somministrato entro 6 ore dalla comparsa dei sintomi. Il malato deve essere istruito perche' possa servirsi correttamente del farmaco, che va iniettato direttamente in vena; alla prima somministrazione seguono poi delle dosi successive, di "aggiustamento", fino alla risoluzione dell' emorragia. Non sono ancora stati standardizzati, infatti, i dosaggi ottimali, e il risultato deve essere ottenuto empiricamente.
Il problema maggiore, pero' e' stato quello dei costi della terapia: un singolo trattamento, secondo i ricercatori, ha comportato un costo di circa 8.000 dollari (15 milioni di lire). Occorre pero' sottolineare che tale trattamento viene parzialmente compensato dalla possibilita' di evitare un ricovero nonche' tutte le spese accessorie (medicamenti, interventi medici e infermieristici ecc.) connessi agli episodi emorragici negli emofilici.
(E. Santagostino: B.M. of H. 1999;104:22-26. - "Il Policlinico di Milano n. 16 1999)

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 14/11/2026 alle ore 2:12 | Pagina 1 di 1