

Interrogazione n. 1119

presentata in data 28 febbraio 2024

a iniziativa del Consigliere Rossi

Mancato rinnovo dell'autorizzazione condizionale all'immissione in commercio del farmaco "Translarna"

a risposta orale

VISTO

che il comitato per i medicinali a uso umano (CHMP), con decisione del 25 gennaio 2024, non ha rinnovato l'autorizzazione all'immissione in commercio del farmaco "Translarna";

che il farmaco viene utilizzato per il trattamento dei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne, che colpisce prevalentemente bambini e ragazzi portandoli alla graduale perdita dei muscoli e alla conseguente impossibilità a deambulare;

che solo nella nostra nazione sono interessate all'utilizzo di questo farmaco circa 20.000 famiglie;

CONSIDERATO

che il farmaco dopo anni di utilizzo è considerato ad elevato profilo di sicurezza e di estrema facilità di somministrazione nei bambini;

che il farmaco consente di rallentare la patologia, così come dimostrano i dati evincibili dal registro STRIDE (Strategic Targeting of Registries and International Database of Excellence), dai quali risulta un chiaro miglioramento delle condizioni di vita dei malati sul lungo termine;

che le speranze di vita di un soggetto affetto da distrofia muscolare di Duchenne raramente superano la terza decade;

RITENUTO

che non c'è una cura che possa porre fine a questa patologia e che i trattamenti medici attualmente utilizzati nei confronti di questi pazienti, hanno come obiettivo proprio quello di rallentare il più possibile il progredire della malattia;

che il ritardo nella perdita di deambulazione porta anche al ritardo nella perdita di tutte le altre funzionalità fondamentali per una buona qualità della vita dei malati;

che il farmaco "Translarna", dati alla mano, rallenta il declino funzionale dei malati e che gli effetti positivi sono riscontrabili in tutto lo spettro dei pazienti in cura anche nei casi più gravi.

INTERROGA

il Presidente della Giunta Regionale e l'Assessore competente per sapere:

se e quali azioni sono state intraprese nei confronti del Governo e della Commissione Europea affinché venga nuovamente autorizzata l'immissione in commercio del farmaco "Translarna".