

Innovatività terapeutica nel trattamento di pazienti affetti da amiloidosi ereditaria da transtiretina: analisi dei costi/benefici terapeutici nello switch da Patisiran a Vutrisiran

Fabiola De Luca^{1,2}, Maria Bulzoni^{1,2}, Anna Paola Capra¹, Alessio Ardizzone¹, Massimo Russo³, Salvatore Cuzzocrea^{1,2}, Emanuela Esposito^{1,2}.

¹ *Dipartimento di Scienze Chimiche, Biologiche, Farmaceutiche e Ambientali, Università degli Studi di Messina, Viale F. Stagno d'Alcontres 31, 98166 Messina;*
² *Programma Interdipartimentale di Allestimento Centralizzato, A.O.U Policlinico di Messina G. Martino, Messina*
³ *U.O.C. Neurologia e Malattie Neuromuscolari, A.O.U Policlinico di Messina G. Martino, Messina*

BACKGROUND E OBIETTIVI

L'**amiloidosi ereditaria da transtiretina** (hATTR, OMIM #105210) è una **malattia genetica rara** a trasmissione autosomica dominante, con esordio in età adulta, progressiva, debilitante e potenzialmente fatale. La patologia è determinata da **mutazioni nel gene TTR** che codifica per una proteina di trasporto, la **transtiretina**, espressa principalmente dal fegato. A causa della deposizione anomala della proteina TTR mutata sotto forma di fibrille amiloidi, diversi tessuti possono essere colpiti, tra cui il sistema nervoso.

TRATTAMENTO FARMACOLOGICO

Patisiran (**Onpattro®**), la dose raccomandata è di 0.3 mg/kg di peso corporeo, somministrati per infusione endovenosa ogni 21 giorni.
Vutrisiran (**Amvuttra®**) la dose raccomandata è di 25 mg somministrata mediante iniezione sottocutanea una volta ogni 3 mesi.


(patisiran) lipid complex injection
10 mg/5 mL

17 SOMMINISTRAZIONI


(vutrisiran) injection
25 mg/0.5 mL

4 SOMMINISTRAZIONI



**RIDUZIONE PRODUZIONE
PROTEINA TTR**

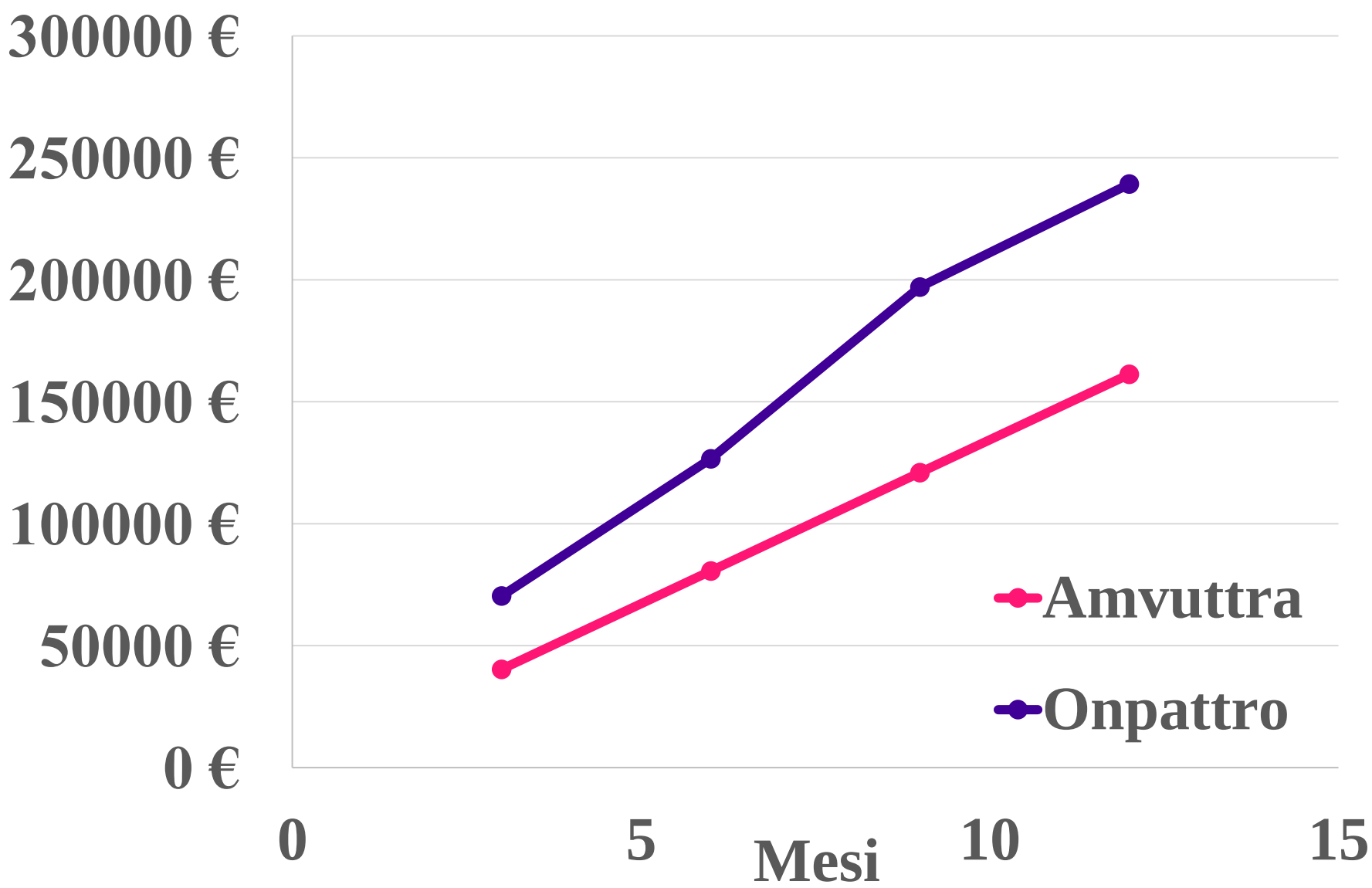
ANALISI DEI COSTI

Sono stati analizzati i dati dei pazienti in cura presso **l'UOC di Neurologia** del Policlinico di Messina, che sono in trattamento con Patisiran (n=40) da Febbraio 2019 ad oggi. È stata effettuata un'analisi di genere, **età, dose prescritta, tipo di mutazione alla diagnosi, e sintomatologia**, basandosi sui dati estrapolati dal Registro di Monitoraggio AIFA.

Nel 2024 i pazienti in trattamento con Patisiran sono 24, di cui 20 hanno effettuato lo switch a Vutrisiran, considerando:
- un'**efficacia sovrapponibile** a quella di Onpattro®;
- una **migliore via di somministrazione**(SC).

Costo complessivo dei 20 pz in 12 mesi		
Onpattro®		
3 flaconi	14 pz	3.349.502,52 €
2 flaconi	6 pz	957.000,72 €
TOTALE		4.306.503,24 €
Amvuttra®		
1 fiala	20 pz	3.224.632,80 €

È stata effettuata un'**analisi dei costi**, in cui si evince che, sebbene Vutrisiran sia più costoso su base mensile rispetto alle altre terapie disponibili, il **costo annuale** per paziente risulta **nettamente inferiore**, con una **compliance nettamente superiore** per il paziente.



Analisi dei costi del trattamento di un singolo pz in un anno con Onpattro®, con dosaggio > 20,1 mg e Amvuttra®.

CONCLUSIONI

Il **farmacista ospedaliero** ha un ruolo cruciale nella gestione economica e nella sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) considerando gli aspetti economici correlati all'acquisto di farmaci ad alto costo per patologie rare, che consentono un numero inferiore di accessi ospedalieri, con una **compliance migliore** da parte del paziente.