



## **Primo Piano -** Emofilia B: somministrata la terapia genica a Milano, è la prima volta in Italia

Milano - 03 dic 2025 (Prima Pagina News) Somministrato con successo al Policlinico di Milano, il primo trattamento genico

in Italia per l'emofilia B grave e moderatamente grave.

Al Policlinico di Milano è stata somministrata la prima terapia genica in Italia per il trattamento dell'emofilia B grave o moderatamente grave, una malattia rara ereditaria causata dalla carenza del Fattore IX della coagulazione. La terapia, indicata solo per pazienti adulti, è stata eseguita nel Centro Emofilia del Policlinico di Milano diretto da Flora Peyvandi, riconosciuto come punto di riferimento nazionale e internazionale per le malattie emorragiche congenite e Centro Hub della Regione Lombardia per la Rete Malattie Emorragiche Congenite (MEC). Il trattamento, recentemente autorizzato dall'Agenzia Italiana del Farmaco e oggi accessibile tramite il Servizio Sanitario Nazionale, consiste in un'unica e irripetibile infusione che permette al corpo di produrre autonomamente il Fattore IX, riducendo in modo significativo la necessità delle infusioni periodiche previste dalle terapie sostitutive tradizionali. L'emofilia B è una malattia genetica ereditaria caratterizzata dalla carenza del Fattore IX, una proteina essenziale per la coagulazione del sangue. Chi ne è affetto presenta un'elevata tendenza a sviluppare emorragie spontanee o provocate da traumi minimi, spesso localizzate nelle articolazioni e nei muscoli, con il rischio di dolore cronico, danni articolari progressivi e significative limitazioni nella vita quotidiana. Il Policlinico di Milano conferma, attraverso questo risultato, la propria vocazione a guidare l'introduzione delle terapie avanzate nel sistema sanitario pubblico. Negli ultimi anni l'Ospedale ha eseguito i primi trattamenti italiani di terapia genica per l'emofilia A e ha partecipato a studi internazionali dedicati alle malattie rare della coagulazione, integrando attività clinica, ricerca e "La terapia genica rappresenta una svolta importante nell'evoluzione del trattamento formazione. dell'emofilia B - afferma Flora Peyvandi -. Per la prima volta disponiamo di un trattamento somministrato in un'unica infusione, capace di permettere ai pazienti di produrre livelli adeguati di Fattore IX e di ridurre l'impatto della malattia sulla vita quotidiana. È un risultato che nasce dal lavoro congiunto dei nostri professionisti, dalle Istituzioni e dalle associazioni dei pazienti, e che apre nuove prospettive per la cura di questa malattia". "Il trattamento del primo paziente in Italia con terapia genica per l'emofilia B testimonia il ruolo del Policlinico di Milano come ospedale pubblico capace di portare nella pratica clinica le innovazioni che fanno realmente la differenza - dichiara Matteo Stocco, direttore generale del Policlinico di Milano -. Investire nelle competenze, nella ricerca e in un'organizzazione multidisciplinare che valorizzi i professionisti significa garantire ai pazienti cure sempre più avanzate. Questo risultato rappresenta un passo ulteriore nella nostra missione di offrire a tutti l'accesso alle migliori opportunità terapeutiche disponibili".

## AGENZIA STAMPA QUOTIDIANA NAZIONALE



(Prima Pagina News) Mercoledì 03 Dicembre 2025