

LA FDA APPROVA PTH 1-84 PER L'IPOPARIROIIDISMO

Responsabile Editoriale
Vincenzo Toscano

La FDA ha approvato il PTH 1-84 in dose giornaliera sottocutanea, insieme a calcio e vitamina D, per controllare l'ipocalcemia nei pazienti con ipoparatiroidismo.

L'ipoparatiroidismo è una patologia caratterizzata da bassi livelli di PTH con alterazione dell'omeostasi calcio-fosforo, che si manifesta spesso a seguito di interventi chirurgici a carico della tiroide e/o delle paratiroidi o più raramente a malattie autoimmuni o genetiche delle paratiroidi. I pazienti possono andare incontro ai sintomi dell'ipocalcemia (parestesie, crampi, spasmi muscolari, depressione, aritmia) che impattano sulla loro qualità di vita. L'ipoparatiroidismo è associato anche a complicanze a lungo termine, come danno renale, nefrolitiasi, sviluppo di cataratta e calcificazioni dei tessuti molli.

Le opzioni di trattamento sono limitate. La terapia *standard* si basa sulla supplementazione con calcio e vitamina D3, che a volte può non essere sufficiente o causare disturbi gastro-intestinali.

Il PTH 1-84 offre un'alternativa ai pazienti non controllati con calcio e vitamina D. Il Natpara è stato approvato nel settembre scorso, ma la FDA ha chiesto una valutazione del rapporto rischi/benefici alla NPS *Pharmaceuticals*. Uno dei problemi è il rischio di osteosarcoma, osservato in rari casi negli studi su PTH 1-84. In realtà non è noto se causi osteosarcoma nell'uomo (i dati sono solo sull'animale), ma essendo un rischio potenziale, il suo uso è raccomandato solo nei pazienti non controllati con calcio e vitamina D.

La dose iniziale è di 50 µg una volta al dì. Si prevede che il farmaco sarà disponibile per la seconda metà del 2015.

I più comuni effetti collaterali riscontrati durante il trattamento sono stati parestesie, tremori, ipocalcemia, emicrania e nausea.

L'approvazione della FDA ha tenuto conto di diversi studi: [REPLACE](#), basato su un'ampia coorte di pazienti ipoparatiroidi, del 2013, [RELAY](#), [RACE](#) e [REPEAT](#).

L'articolo che riporta la notizia dell'approvazione FDA afferma: "L'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) solo ora starebbe valutando l'autorizzazione del farmaco proposta dalla NPS Pharma's per l'uso nell'ipoparatiroidismo, essendo autorizzato in Europa solo nell'osteoporosi." In realtà gli americani ignorano che il PTH 1-34 è già autorizzato dal 2013 in Italia (dall'AIFA con la L.648) per l'ipoparatiroidismo cronico grave, grazie all'impegno dell'AME attraverso la sua Commissione Farmaci.



Commissione Farmaci AME

Raffaele Volpe (Coordinatore) (rafaelfox@libero.it)
Enrica Ciccarelli, Davide De Brasi, Giorgia Anna Garinis, Paolo Falasca,
Agostino Paoletta, Barbara Piralì, Agostino Specchio

A cura di:
Renato Cozzi