

COMUNICATO STAMPA

TEPLIZUMAB - PRESENTATI I RISULTATI DELLA FASE III DELLO STUDIO PROTECT

Neo diagnosi diabete tipo 1: Il TEPLIZUMAB ha dimostrato di preservare la produzione di insulina sino al termine del trial (un anno e mezzo)

For immediate release

Roma, 23 ottobre 2023 - Presentati al 49mo Congresso ISPAD (International Society for Pediatric and Adolescent Diabetes) di Rotterdam i dati della fase III dello studio PROTECT sull'utilizzo dell'anticorpo monoclonale Teplizumab in bambini e ragazzi dagli 8 ai 17 anni con neo-diagnosi di diabete di Tipo 1. **Lo studio, appena pubblicato sulla rivista *New England Journal of Medicine (NEJM)* ha promosso la molecola come capace di mantenere la produzione di insulina per tutta la durata dello studio (esattamente 78 settimane) rispetto a coloro che non hanno ricevuto il farmaco.** Come è noto dai risultati dei famosi studi internazionali del *Diabetes Control Complication Trial*, la preservazione della produzione di insulina è fondamentale per la prevenzione delle complicanze micro e macroangiopatiche del diabete tipo 1.

Inoltre Protect ha dimostrato che la proporzione di individui trattati con teplizumab che raggiunge entrambi gli obiettivi ovvero emoglobina glicata inferiore/uguale a 6.5% e una dose di insulina inferiore a 0.25 unità per kg di peso corporeo è significativamente superiore rispetto ai soggetti trattati con placebo al termine dello studio.

“Il teplizumab aveva già dimostrato di ritardare il declino della funzione delle cellule beta, che producono insulina, di circa 2 anni nei familiari a rischio ovvero che avessero positività per almeno due autoanticorpi del diabete e una condizione di alterazione dei livelli di glicemia (stadio 2) (*NEJM*, 2019). Tanto che la *Food and Drug Administration* ne aveva approvato l'utilizzo a novembre del 2022 per bambini ed adolescenti che avessero positività per almeno due autoanticorpi del diabete e una condizione di disglycemia.

Lo studio Protect aggiunge ancora sostanza a quanto già pubblicato nel 2019 relativamente ai soggetti a rischio, in quanto “agli ottimi risultati in termini di prevenzione si aggiungono ora risultati assai significativi in termini di ‘mantenimento della produzione di insulina dalla diagnosi sino al termine dello studio, effetto assai importante per il dilazionamento nel tempo dell’insorgenza delle complicanze del diabete.’” sottolinea la **Professoressa Raffaella Buzzetti, Presidente Eletto della SID** “Teplizumab in particolare agisce sulle cellule immunitarie ritenute responsabili della distruzione delle beta-cellule del pancreas permettendo il mantenimento della produzione di insulina in risposta all'introito di zuccheri nell'organismo”.

Il diabete di tipo 1 è una priorità di salute pubblica dal momento che rappresenta la seconda malattia cronica più comune dell'infanzia (al primo posto c'è l'asma), con diminuzione della qualità della vita, e una aspettativa di vita inferiore (14 anni negli uomini e più di 17 anni

nelle donne secondo alcuni studi nei soggetti in cui la malattia è stata diagnosticata prima dei 10 anni).

La malattia mostra nel 10% dei casi una ricorrenza nelle famiglie, dove vi sia un soggetto con malattia diagnosticata occorre indagare anche fratelli e familiari più prossimi che possono attraversare fasi asintomatiche prima di mostrare la comparsa di autoanticorpi (tipica dello stadio 1) e alterazione dei livelli di glicemia (stadio 2). In questo stadio, le risposte metaboliche al carico di glucosio sono alterate mentre i livelli di emoglobina glicata (uno dei principali marcatori della malattia) rimangono normali.

Il 27 settembre, sulla Gazzetta Ufficiale n. 226, è stato pubblicato il testo della legge volta a istituire un programma di screening per la salute pubblica, mirato alla diagnosi precoce di diabete di tipo 1 e celiachia nella fascia di età compresa tra 1 e 17 anni. Questa iniziativa in cui l'Italia è pioniera, mira a identificare i soggetti a rischio, permettendo di prevenire complicanze potenzialmente fatali associate a tali patologie attraverso una diagnosi tempestiva.

Teplizumab è stato approvato dall'FDA americana nel novembre 2022 e prima che sia disponibile in Italia si dovrà attendere l'approvazione da parte dell'ente regolatorio europeo EMA e italiano AIFA.

In sintesi:

Potranno beneficiare di teplizumab i **soggetti con più di 8 anni con predisposizione al diabete tipo 1** nei quali quindi lo screening abbia evidenziato **due o più autoanticorpi** e che abbiano una condizione di **“disglicemia”** definita con uno dei seguenti parametri:

- una glicemia a digiuno uguale o superiore a 110 mg/dL e inferiore a 125 mg/dL;
- una glicemia uguale o superiore a 140 mg/dL e inferiore a 200 mg/dL a due ore dopo un test da carico orale di zucchero (OGTT)
- una glicemia uguale o superiore a 200 mg/dL al tempo 30, 60 o 90 minuti durante OGTT

Ufficio Stampa SID

Mason&Partners

Dr.ssa Johann Rossi Mason

Mobile 347/2626993

Jrossimason@gmail.com

Masonandpartners@gmail.com