

## Un trattamento innovativo per ritardare l'insorgenza del diabete di tipo 1 approvato dall'Ema

L'Ema ha raccomandato l'autorizzazione per Teplizumab, primo farmaco che ritarda l'insorgenza del diabete di tipo 1 sintomatico in pazienti allo stadio 2. Il trattamento, che frena l'attacco autoimmune alle cellule pancreatiche, ha quasi raddoppiato il tempo medio prima della comparsa della malattia. La decisione finale dell'UE è attesa a breve.

(Fonte: <https://www.quotidianosanita.it/> 20 novembre 2025)

In una decisione che segna una svolta nella cura del diabete di tipo 1, l'Agenzia Europea per i Medicinali (Ema) ha raccomandato di concedere l'autorizzazione all'immissione in commercio nell'Unione Europea per Teizeild (**teplizumab**). Questo farmaco, di prima classe, è destinato a ritardare l'insorgenza del diabete di tipo 1 in fase 3 (fase sintomatica) in adulti e bambini a partire dagli 8 anni di età che si trovano nello stadio 2 della malattia.

Il diabete di tipo 1 è una malattia autoimmune cronica in cui il sistema immunitario del corpo distrugge le cellule beta del pancreas, responsabili della produzione di insulina. Senza questo ormone, che regola il glucosio nel sangue permettendogli di entrare nelle cellule per produrre energia, lo zucchero si accumula nel flusso sanguigno. Ciò causa sintomi come sete intensa, fame, minzione frequente, perdita di peso e stanchezza. A lungo termine, la malattia può danneggiare organi vitali come cuore, vasi sanguigni, nervi, occhi e reni, rendendo necessarie iniezioni quotidiane di insulina per il controllo della glicemia.

Spesso a esordio infantile ma possibile a qualsiasi età, il diabete di tipo 1 si sviluppa in tre stadi. I sintomi compaiono tipicamente allo stadio 3, quando il paziente diventa insulino-dipendente, un cambiamento che comporta un onere significativo, specialmente per i bambini e le loro famiglie. Ritardare l'inizio di questa fase, specialmente nei più giovani, rappresenta quindi un traguardo fondamentale. Si stima che 2,2 milioni di persone nell'UE convivano con il diabete di tipo 1, e attualmente non esistono terapie autorizzate in grado di ritardarne o curarne la progressione.

### Come funziona Teplizumab

Il principio attivo di Teizeild, il teplizumab, è un anticorpo che agisce ritardando la progressione della malattia riducendo la velocità con cui il sistema immunitario del paziente distrugge le proprie cellule beta pancreatiche. La terapia prevede una somministrazione per infusione endovenosa una volta al giorno per 14 giorni consecutivi.

Teizeild ha beneficiato del programma PRIME (PRiority MEDicines) dell'Ema, riservato ai farmaci che mostrano un potenziale particolare nel soddisfare esigenze mediche non ancora coperte.

### I dati degli studi clinici

La raccomandazione dell'Ema poggia sui risultati di uno studio clinico randomizzato, in doppio

cieco e controllato con placebo, che ha coinvolto 76 pazienti con diabete di tipo 1 in stadio 2. I dati sono stati eloquenti: il tempo mediano per sviluppare il diabete in fase 3 è stato di 50 mesi per i pazienti trattati con teplizumab, contro i 25 mesi di chi ha ricevuto il placebo. Inoltre, durante lo studio (con un follow-up mediano di 51 mesi), hanno sviluppato la malattia 20 pazienti (45%) su 44 nel gruppo teplizumab, rispetto a 23 (72%) su 32 nel gruppo placebo. Studi supplementari hanno confermato che il trattamento con teplizumab preserva in modo significativo la funzionalità delle cellule beta pancreatiche.

### **Effetti collaterali e sicurezza**

Gli effetti collaterali più comuni associati a Teizeild sono stati bassi livelli di globuli bianchi (linfociti, leucociti e neutrofili) e rash cutaneo. La reazione avversa grave più frequente, riportata nel 2% dei pazienti, è stata la sindrome da rilascio di citochine, una condizione seria che può causare febbre, vomito, respiro corto, mal di testa e bassa pressione sanguigna. Il prodotto includerà nel suo foglio illustrativo e nel piano di gestione del rischio misure appropriate per mitigare questi rischi.

### **Prossimi passi**

L'opinione positiva del Comitato per i Medicinali per Uso Umano (Chmp) è un passo intermedio verso la disponibilità del farmaco. La raccomandazione sarà ora inviata alla Commissione Europea per l'adozione di una decisione finale sull'autorizzazione all'immissione in commercio in tutta l'UE. Una volta concessa l'autorizzazione, le decisioni su prezzo e rimborso avverranno a livello dei singoli Stati Membri, che valuteranno il ruolo potenziale di questo medicinale all'interno dei propri sistemi sanitari nazionali.

L'arrivo di Teplizumab offre quindi una nuova, concreta speranza per migliaia di individui a rischio di sviluppare la forma conclamata di diabete di tipo 1, potendo concedere loro anni preziosi senza la necessità di iniezioni quotidiane di insulina.