



## FARMACI:SIGMATAU,FDA VALUTA TERAPIA PER DISTURBO CISTINOSI

(ANSA) - ROMA, 17 MAG - La Food and drug administration (Fda)

ha accettato la domanda per l'immissione in commercio presentata dalla Sigma Tau per una soluzione oftalmica a base di cisteamina cloridrato, terapia sperimentale per il trattamento del deposito di cristalli di cistina nella cornea in pazienti affetti da cistinosi, attribuendole la procedura di valutazione prioritaria. Lo rende noto la stessa azienda farmaceutica in una nota.

L'azienda è assegnataria dello stato di farmaco orfano per questo prodotto e ha già ottenuto fondi dalla Orphan Drug Product Division della Fda per il finanziamento della ricerca sul trattamento. Qualora ottenesse l'approvazione, il farmaco rappresenterebbe il primo trattamento approvato dalla Fda per il deposito di cristalli di cistina nella cornea, disturbo che può provocare alterazioni della vista e fotofobia.

La cistinosi è una rara malattia genetica caratterizzata da un anomalo accumulo lisosomiale dell'aminoacido cistina. Secondo le stime, la patologia interessa 2.000 persone in tutto il mondo, di cui 300 negli Usa, con particolare incidenza nei bambini, e provoca un accumulo di cristalli di cistina nei reni, nel fegato, nei muscoli, nel pancreas, nell'encefalo, nei globuli bianchi e negli occhi. Benché esista un trattamento per la riduzione dell'accumulo di cistina nell'organismo, non c'è ancora nessuna terapia approvata dalla Fda per il deposito di cristalli di cistina nella cornea.