

Cari Colleghi,

Vi segnalo oggi l'approvazione da parte della Food and Drug Administration statunitense di elosulfase alfa per il trattamento della mucopolisaccaridosi tipo IVA (sindrome di Morquio A).

*Buona lettura,
Luca Pani*

25 febbraio 2014

FDA approva elosulfase alfa per trattare sindrome di Morquio A

La Food and Drug Administration statunitense ha approvato elosulfase alfa, il primo trattamento autorizzato dall'agenzia regolatoria per la mucopolisaccaridosi tipo IVA (sindrome di Morquio A). Questo tipo di sindrome è una rara malattia autosomica recessiva da accumulo lisosomiale causata dalla mancanza di N-acetilgalattosamina-6-solfato solfatasi (GALNS). Elosulfase alfa è stato esaminato con un processo di revisione prioritaria, ovvero un riesame accelerato di farmaci per le malattie o condizioni gravi che possono offrire importanti progressi terapeutici. Si tratta anche del primo farmaco a ricevere il Rare Disease Pediatric Priority Review Voucher, un provvedimento che mira a favorire lo sviluppo di nuovi farmaci per la prevenzione e il trattamento delle malattie pediatriche rare.

[Vai sul sito AIFA per la notizia originale](#)

25 febbraio 2014

"Pillole dal Mondo" è un'iniziativa di AIFA per i Medici di Medicina Generale, a cura della Direzione Generale.

Se non vuoi più ricevere il servizio scrivi una e-mail con oggetto
"CANCELLAMI" all'indirizzo: news@aifa.gov.it.

Realizzato dall'Ufficio Stampa e della Comunicazione AIFA.