

10 marzo 2026

Oggetto: Comunicato Congiunto AICE-FedEmo

AICE e FedEmo informano che, in data 22 febbraio 2026, BioMarin ha comunicato la decisione di ritirare volontariamente dal mercato il proprio farmaco Roctavian (valoctocogene roxaparvovec) per la terapia genica in pazienti adulti con emofilia A grave.

Tale decisione non è legata a problematiche di sicurezza o efficacia del medicinale, ma a ragioni legate alla sostenibilità economica del farmaco nell'ambito del contesto terapeutico attuale.

Alla luce di ciò resta importante per AICE e FedEmo ribadire che:

- Le persone con emofilia che hanno già ricevuto tale terapia continueranno ad avere accesso al programma di supporto (es.: prelievi al domicilio) per due anni.
- Esiste ancora la possibilità, per chi fosse interessato, di ricevere Roctavian entro fine maggio 2026.

Inoltre, AICE si impegna a coordinare l'attività di follow-up a lungo termine tramite l'apposito gruppo di lavoro sulla terapia genica e a condividere tutte le informazioni al riguardo con FedEmo e la comunità dei pazienti in modo tempestivo.

AICE e FedEmo sono consapevoli che la terapia genica rappresenta per le persone con emofilia un'opportunità per il miglioramento della qualità di vita e un'importante opzione terapeutica.

La decisione dell'Azienda di ritirare la terapia dal mercato potrebbe apparire come una battuta d'arresto nell'avanzamento terapeutico. In realtà, l'esperienza maturata con valoctocogene roxaparvovec in Italia darà l'opportunità di sfruttare in modo positivo ciò che il futuro riserva per le persone con emofilia, che comprenderà anche nuovi approcci di terapia genica, attualmente in fase di studio.

Il Presidente AICE*Il Presidente FedEmo*