

Il Gruppo Chiesi Riceve l'Opinione Positiva del CHMP per Lamzede®, la Prima Terapia per l'Alfa Mannosidosi in Europa

Published On: 2018-03-15 00:00

- Lamzede® (velmanase alfa) è la prima terapia farmacologica per il trattamento dell'Alfa Mannosidosi, una malattia ultra-rara e severamente invalidante di origine genetica¹
- L'Alfa Mannosidosi (AM) è un disordine da accumulo lisosomiale causato dal deficit nell'attività dell'enzima alfa-mannosidasi, coinvolto nella scomposizione cellulare delle glicoproteine. Questa carenza porta al progressivo accumulo tossico di zuccheri non digeriti nelle cellule e nei tessuti, con conseguente progressiva disabilità fisica e intellettiva, infezioni ricorrenti e anomalie scheletriche.
- Lamzede® è somministrato tramite terapia endovenosa settimanale ed è progettato per sostituire l'enzima mancante o non funzionante in pazienti affetti da AM.

Parma, 29 gennaio 2018 – Il Gruppo Chiesi (Chiesi), azienda farmaceutica internazionale basata sulla ricerca, ha annunciato oggi che il CHMP (Committee for Human Medicinal Products) dell'EMA (European Medicines Agency) ha emesso parere positivo, raccomandando l'autorizzazione all'immissione in commercio di **velmanase alfa**, con il nome commerciale di **Lamzede®**, fornendo per la prima volta un trattamento per l'Alfa Mannosidosi (AM), una malattia rara progressiva e invalidante¹.

Lamzede® è somministrato settimanalmente per via endovenosa per sostituire l'enzima malfunzionante o mancante che causa la malattia. L'opinione positiva del CHMP è stata emessa secondo la formula delle "circostanze eccezionali", prevista dalla legislazione europea per il trattamento di disordini estremamente rari per i quali i tradizionali studi clinici su larga scala non sono eseguibili. Lamzede è stato studiato in 33 pazienti, sia bambini che adulti.

L'Alfa Mannosidosi (AM) è un disordine da accumulo lisosomiale, estremamente raro, di origine genetica, causato dall'assenza o dal cattivo funzionamento dell'alfa-mannosidasi, un enzima coinvolto nella scomposizione cellulare delle glicoproteine. La mancanza di attività dell'alfa-mannosidasi è dovuta a mutazioni genetiche del gene MAN2B1 e porta al progressivo accumulo di oligosaccaridi non degradati nelle cellule di diversi organi e tessuti. Il fenotipo clinico più frequente di Alfa Mannosidosi comprende un'ampia gamma di manifestazioni, tra cui alterazioni della morfologia facciale, disabilità intellettiva, progressivi disturbi della funzione motoria e disabilità fisiche, problemi di udito, disturbi della parola, immunodeficienza e infezioni ricorrenti, sintomi psichiatrici e anomalie scheletriche. La prognosi a lungo termine è generalmente scarsa, con un'aspettativa di vita ridotta.

Paolo Chiesi, Vice Presidente del Gruppo Chiesi e Head of R&D, ha commentato, *"L'opinione positiva del CHMP è un traguardo importante per fornire questa opzione terapeutica ai pazienti affetti da Alfa Mannosidosi in Europa. Vorrei ringraziare tutti i pazienti, le loro famiglie e gli*

operatori sanitari che hanno partecipato agli studi clinici e tutti i collaboratori di Chiesi e Zymenex che hanno lavorato con passione per rendere Lamzede® una realtà clinica. Il Gruppo Chiesi è fortemente impegnato a sviluppare e commercializzare opzioni terapeutiche innovative per i pazienti affetti da malattie rare, come dimostrano le nostre recenti partnership con Horizon pharma plc e Protalix Biotherapeutics.”

Velmanase alfa è stato inizialmente sviluppato da Zymenex A/S, società scandinava acquisita da Chiesi nel 2013. Con questa acquisizione, Chiesi ha istituito un gruppo di ricerca biotecnologico integrato con sede a Hillerød (Danimarca) e Lidingö (Svezia) incentrato sullo sviluppo di terapie a base di proteine. Lo sviluppo iniziale di Lamzede® è stato supportato anche da un consorzio di ricerca su scala europea ed è stato il primo trattamento sperimentale a ottenere una borsa di ricerca UE per studi clinici precoci nell'ambito del Framework VII (progetto Alpha-Mann, FP7-HEALTH-2010-261331).

L'opinione positiva del CHMP è uno degli ultimi passi prima che la Commissione Europea conceda l'autorizzazione all'immissione in commercio. La concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio è prevista per il secondo trimestre 2018.

#

Lamzede®

Il principio attivo di Lamzede è il velmanase alfa, una forma ricombinante della proteina umana alfa-mannosidasi (codice ATC: A16AB15). Lamzede è una terapia di sostituzione enzimatica che mira a sostituire o supplementare l'alfa-mannosidasi naturale, un enzima che partecipa alla degradazione degli oligosaccaridi ricchi in mannosio e, pertanto, previene il loro accumulo in vari tessuti corporei. Lamzede è stato certificato “farmaco orfano” il 26 Gennaio 2005.

L'indicazione terapeutica del prodotto è “Terapia di sostituzione enzimatica per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche in pazienti con Alfa Mannosidosi da lieve a moderata”. Si suggerisce che Lamzede venga prescritto da medici esperti nella gestione di pazienti con Alfa Mannosidosi o nella somministrazione di altre terapie di sostituzione enzimatica per disordini da accumulo lisosomiale.

Raccomandazioni dettagliate per l'uso del prodotto saranno disponibili nella Scheda Tecnica di Prodotto (SmPC, Summary of Product Characteristics), che verrà pubblicata nell'EPAR (European Public Assessment Report) e resa disponibile in tutte le lingue ufficiali dell'Unione Europea dopo l'Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) da parte della Commissione Europea.

Il Gruppo Chiesi

Chiesi Farmaceutici è un Gruppo internazionale orientato alla ricerca, con oltre 80 anni di esperienza e con sede a Parma e presente in 26 Paesi. Chiesi ricerca, sviluppa e commercializza farmaci innovativi nelle aree terapeutiche respiratoria e della medicina specialistica. Il Centro Ricerche di Parma, i laboratori di Parigi (Francia), Cary (USA), Chippenham e Oxford (UK) e il team di R&S della controllata società danese Zymenex collaborano ai programmi pre-clinici, clinici e registrativi del Gruppo. Chiesi impiega oltre 5000 persone, 671 delle quali dedicate ad attività di ricerca e sviluppo e attività regolatorie.

Referenze:

1. Malm D, Nilssen Ø. Orphanet J Rare Dis. 2008;3:21