

Chiesi Global Rare Diseases annuncia l'approvazione da parte dell'FDA di una terapia enzimatica sostitutiva per l'alfa-mannosidosi

Published On: 2023-02-22 00:00

- *Prima e unica terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non a carico del sistema nervoso centrale dell'alfa-mannosidosi in pazienti adulti e pediatrici;*
- *Si tratta di una malattia progressiva estremamente rara che si presenta con un'ampia gamma di sintomi.*

BOSTON, 20 febbraio 2023 - Chiesi Global Rare Diseases, business unit di Chiesi Farmaceutici S.p.A., gruppo internazionale orientato alla ricerca (Gruppo Chiesi), ha annunciato oggi che la Food and Drug Administration (FDA) statunitense ha approvato la prima e unica terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni dell'alfa-mannosidosi (AM) non a carico del sistema nervoso centrale in pazienti adulti e pediatrici. L'AM è un disturbo da accumulo lisosomiale estremamente raro e progressivo, causato dalla carenza dell'enzima α -mannosidasi.

“Questa approvazione rappresenta un'importante pietra miliare per le persone affette da alfa-mannosidosi. Si tratta della prima e unica terapia enzimatica sostitutiva approvata per l'alfa-mannosidosi negli Stati Uniti, un risultato basato su anni di sviluppo clinico e sulla dedizione dei nostri dipendenti, dei medici, dei pazienti e delle loro famiglie”, ha dichiarato Giacomo Chiesi, Head of Chiesi Global Rare Diseases. “L'alfa-mannosidosi si presenta con una serie di sintomi, tra cui disturbi dell'udito, del linguaggio e della mobilità, che progrediscono dall'infanzia all'età adulta e che spesso non vengono riconosciuti, facendo sì che alcuni pazienti non vengano diagnosticati o trattati. Il prodotto è stato progettato per fornire una fonte esogena di enzima α -mannosidasi e non vediamo l'ora di offrire questo farmaco ai pazienti che negli Stati Uniti attendono con ansia un'opzione terapeutica”.

La prevalenza approssimativa dell'AM varia da 1 bambino su 500.000 a 1 ogni 1.000.000 di nati in tutto il mondo. L'AM comporta l'incapacità delle cellule dell'organismo di scomporre correttamente alcuni gruppi di zuccheri complessi. L'accumulo di zuccheri può influire su molti organi e sistemi dell'organismo. Gli effetti della malattia variano notevolmente da persona a persona e progrediscono nel tempo. I sintomi possono cambiare con l'avanzare dell'età e possono includere infezioni ricorrenti alle vie respiratorie e all'orecchio, perdita dell'udito, facies distintiva, debolezza muscolare, anomalie scheletriche e articolari, anomalie visive e anomalie cognitive.

Il farmaco in questione è una forma ricombinante di alfa-mannosidasi umana destinata a fornire o integrare l'alfa-mannosidasi naturale, un enzima coinvolto nella degradazione degli oligosaccaridi ricchi di mannosio per prevenirne l'accumulo in vari tessuti dell'organismo. Nel 2018 il Gruppo Chiesi ha ricevuto dalla Commissione Europea l'autorizzazione all'immissione in commercio del prodotto per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche in pazienti con AM da lieve a moderata.

Indicazioni

Il farmaco è indicato per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi da lieve a moderata.

Avvertenze speciali e precauzioni d'impiego

ATTENZIONE: REAZIONI DI IPERSENSIBILITÀ GRAVI

Reazioni di ipersensibilità inclusa l'anafilassi:

Nei pazienti arruolati negli studi clinici sono state osservate reazioni di ipersensibilità. Durante la somministrazione di velmanase alfa deve essere prontamente disponibile un adeguato supporto medico. Qualora si manifestino severe reazioni allergiche o di tipo anafilattico, si raccomanda l'interruzione immediata della somministrazione di velmanase alfa; devono essere inoltre adottate le usuali misure mediche standard per il trattamento d'emergenza.

Considerazioni dovute a reazioni di ipersensibilità e/o reazioni correlate all'infusione (IRR)

La somministrazione di velmanase alfa può indurre una IRR, compresa una reazione anafilattoide. Le IRR osservate negli studi clinici con velmanase alfa erano caratterizzate da un rapido esordio dei sintomi ed erano di severità da lieve a moderata.

Il trattamento delle IRR deve basarsi sulla severità della reazione e comprende la riduzione della velocità d'infusione, il trattamento con medicinali quali antistaminici, antipiretici e/o corticosteroidi e/o l'interruzione e la ripresa del trattamento aumentando il tempo d'infusione.

Per i pazienti che tollerano bene le infusioni, è possibile prendere in considerazione la somministrazione delle infusioni del prodotto a domicilio. La decisione di passare alla somministrazione domiciliare delle infusioni deve essere presa in seguito a valutazione e raccomandazione da parte del medico curante. I pazienti che manifestano reazioni correlate all'infusione, incluse reazioni di ipersensibilità o reazioni anafilattiche, durante l'infusione a domicilio devono immediatamente ridurre la velocità d'infusione o interrompere il processo d'infusione, in base alla severità della reazione, e rivolgersi a un operatore sanitario. La dose e la

velocità d'infusione in caso di somministrazione domiciliare dovranno essere le stesse utilizzate nel contesto ospedaliero e potranno essere modificate solo sotto la supervisione di un operatore sanitario e del medico curante.

Il medico curante e/o l'infermiere dovranno impartire un addestramento adeguato al paziente e/o alla persona che se ne prende cura.

Reazioni di ipersensibilità inclusa l'anafilassi:

Qualora si manifestino sintomi quali angioedema (tumefazione di lingua o gola), ostruzione delle vie respiratorie superiori o ipotensione durante o immediatamente dopo l'infusione, deve essere sospettata anafilassi o reazione anafilattoide. In tal caso deve essere considerato appropriato un trattamento con un antistaminico e corticosteroidi. Nei casi più severi vanno adottate le usuali misure mediche standard per il trattamento d'emergenza.

I pazienti vanno tenuti sotto osservazione per le IRR per un'ora o più, dopo l'infusione, secondo il giudizio del medico curante.

Reazione correlata a infusione (IRR):

Negli studi clinici, IRR (comprendenti ipersensibilità, cianosi, nausea, vomito, piressia, brividi, sensazione di calore, malessere, orticaria, reazione anafilattoide e iperidrosi), sono state osservate nel 13% dei pazienti.

Fertilità e tossicità in gravidanza:

Non sono disponibili dati relativi all'uso di velmanase alfa in donne in gravidanza. Gli studi sugli animali non indicano effetti dannosi diretti o indiretti su gravidanza, sviluppo embrionale/fetale, parto o sviluppo post-natale. Poiché velmanase alfa ha lo scopo di normalizzare l'alfa-mannosidasi nei pazienti affetti da alfa-mannosidosi, il prodotto non è raccomandato durante la gravidanza a meno che le condizioni cliniche della donna rendano necessario il trattamento con velmanase alfa.

I dati preclinici non rivelano rischi particolari per l'uomo sulla base di studi convenzionali di sicurezza farmacologica di sicurezza, tossicità a dosi ripetute, tossicità in età giovanile e tossicità della riproduzione e dello sviluppo.

Effetti indesiderati

Le reazioni avverse più comunemente osservate sono state aumento ponderale (15%), IRR (13%), diarrea (10%), cefalea (7%), artralgia (7%), appetito aumentato (5%) e dolore agli arti (5%).

Informazioni su Chiesi Global Rare Diseases

Chiesi Global Rare Diseases è una business unit del Gruppo Chiesi nata per offrire terapie e soluzioni innovative alle persone affette da malattie rare. Come azienda familiare, il Gruppo Chiesi si impegna per creare un mondo in cui sia normale avere una terapia per tutte le malattie e agisce come una forza positiva, per la società e per il pianeta. L'obiettivo dell'unità Global Rare Diseases è quello di garantire la parità di accesso, in modo che il maggior numero possibile di persone possa vivere una vita più soddisfacente. Global Rare Diseases collabora con le comunità che si occupano di malattie rare in tutto il mondo, per dare voce alle persone non adeguatamente coperte dai sistemi sanitari. Per maggiori informazioni visitare il sito www.chiesirarediseases.com.

Gruppo Chiesi

Chiesi è un gruppo biofarmaceutico internazionale orientato alla ricerca che sviluppa e commercializza soluzioni terapeutiche innovative nel campo della salute respiratoria, delle malattie rare e delle cure specialistiche.

Per realizzare la propria missione di migliorare la qualità di vita delle persone, il Gruppo agisce in maniera responsabile non solo verso i pazienti, ma anche per le comunità in cui opera e per l'ambiente.

Avendo adottato lo status giuridico di Società Benefit in Italia, negli Stati Uniti e in Francia, l'impegno di Chiesi a creare valore condiviso per la società nel suo complesso è legalmente vincolante, e al centro di ogni decisione aziendale.

Come B Corp certificata dal 2019, siamo parte di un movimento globale di aziende che rispettano alti standard di impatto sociale e ambientale. L'azienda ha l'obiettivo di raggiungere impatto zero sull'ambiente entro il 2035.

Chiesi, che vanta oltre 85 anni di esperienza, ha sede a Parma, opera in 30 Paesi, e conta oltre 6.000 collaboratori. Il Centro Ricerche di Parma collabora con altri sei importanti poli di R&S in Francia, Stati Uniti, Canada, Cina, Regno Unito, e Svezia.

Contatti per i media:

Chiara Travagin

Rare Communication Manager

Tel: +39 348 8818985

Email c.travagin@chiesi.com

Alessio Pappagallo

Press Office Manager

Tel: +39 339 5897483

Email a.pappagallo@chiesi.com