

Chiesi Global Rare Diseases e Protalix BioTherapeutics ricevono il parere positivo del CHMP su Pegunigalsidasi Alfa per il trattamento della malattia di Fabry

Published On: 2023-02-24 00:00

- La decisione della Commissione europea è prevista per l'inizio di maggio 2023

PARMA/BOSTON e CARMIEL, Israele, 24 febbraio 2023 - Chiesi Global Rare Diseases, business unit del Gruppo Chiesi nata per offrire terapie e soluzioni innovative ai soggetti affetti da malattie rare, e Protalix BioTherapeutics, Inc. (NYSE American:PLX) (TASE:PLX), azienda biofarmaceutica, hanno annunciato oggi che il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha emesso parere positivo, raccomandando l'autorizzazione all'immissione in commercio di PRX?102 (pegunigalsidasi alfa), il primo e unico enzima PEGilato per il trattamento di pazienti adulti affetti dalla malattia di Fabry.

"Chiesi e i nostri partner di Protalix sono profondamente impegnati nei confronti delle persone affette dalla malattia di Fabry e delle relative famiglie, molte delle quali hanno esigenze mediche non soddisfatte", ha dichiarato Giacomo Chiesi, Head of Chiesi Global Rare Diseases. "Rivolgiamo la nostra più profonda gratitudine a tutte le persone affette dalla malattia di Fabry che hanno partecipato agli studi clinici. Grazie a loro, PRX?102 è stato ampiamente studiato nel corso del programma di sviluppo clinico, consentendo di ottenere dati per la valutazione del CHMP e il parere positivo sul profilo rischi-benefici di PRX?102. Non vediamo l'ora di progredire verso l'approvazione e il lancio in Europa e porteremo avanti la nostra missione per offrire questa potenziale nuova opzione terapeutica alle persone affette dalla malattia di Fabry in tutto il mondo".

PRX?102 è un nuovo enzima ? galattosidasi?Galattosidasi?A (??Gal?A) ricombinante umano come terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della malattia di Fabry. Il parere positivo del CHMP deriva da una richiesta di autorizzazione alla commercializzazione (MAA) che ha incluso dati positivi provenienti da una estesa serie di studi preclinici, clinici e di produzione atti a valutare PRX?102. Il programma di sviluppo clinico comprende gli studi clinici di fase 3 BALANCE, BRIDGE e BRIGHT già completati, lo studio clinico di fase 1/2 e gli studi di estensione correlati in corso, che insieme rappresentano più di 400 anni di esposizione al PRX?102. PRX?102 è stato studiato in più di 140 pazienti, sia naïve al trattamento ERT che già sottoposti allo stesso, e comprende uno studio di comparazione testa a testa rispetto all'agalsidasi beta.

"Siamo lieti di aver compiuto un ulteriore passo avanti verso l'approvazione in Europa con il parere positivo del CHMP che raccomanda l'autorizzazione alla commercializzazione di PRX?102 per i

*pazienti adulti affetti dalla malattia di Fabry”, ha dichiarato **Dror Bashan, Presidente e Amministratore Delegato di Protalix.** “Riteniamo che questa raccomandazione riconosca la forza dei dati positivi del nostro solido programma di studi clinici e sottolinei il potenziale del PRX?102 nel fornire una nuova opzione terapeutica ai pazienti affetti dalla malattia di Fabry. I dati del nostro programma clinico indicano che PRX?102 ha il potenziale per diventare una terapia di lunga durata con un profilo di tollerabilità e immunogenicità favorevole. Insieme a Chiesi, continuiamo a impegnarci per portare PRX?102 sul mercato e a lavorare per migliorare potenzialmente la qualità della vita dei pazienti affetti dalla malattia di Fabry. Ringraziamo il personale dello studio per il suo impegno e attendiamo con ansia la decisione finale della Commissione europea sulla MAA”.*

Il parere del CHMP è ora sottoposto alla Commissione Europea (CE) per l'azione definitiva. La decisione finale della CE sull'autorizzazione alla commercializzazione è prevista per l'inizio di maggio 2023.

*“Nonostante gli importanti progressi compiuti nel trattamento della malattia di Fabry, molti pazienti ancora convivono con bisogni insoddisfatti che influiscono sulla loro qualità di vita”, ha dichiarato **Antonio Pisani, professore di Nefrologia all’Università degli Studi Federico II di Napoli.** “È importante ricordare che PRX-102 è stato ampiamente studiato sia in pazienti naïve alle ERT sia in pazienti con esperienza di ERT. I solidi dati clinici supportano il parere positivo del CHMP e non vedo l'ora di avere l'opportunità di offrire una nuova opzione terapeutica ai pazienti con malattia di Fabry, in attesa dell'autorizzazione finale” ha aggiunto il professor Pisani. “Un ringraziamento particolare va a tutte le persone con malattia di Fabry e ai ricercatori che hanno partecipato agli studi clinici e che hanno permesso il raggiungimento di questo importante traguardo per tutta la comunità”.*

Informazioni sulla malattia di Fabry

La malattia di Fabry è una malattia ereditaria legata al cromosoma X che deriva da una carenza di attività dell'enzima lisosomiale α -galattosidasi A, che provoca l'accumulo progressivo di depositi anomali di una sostanza grassa chiamata globotriaosilceramide (Gb_3) nei lisosomi di tutto il corpo di un individuo. La malattia di Fabry colpisce una persona su 40.000-60.000. I pazienti affetti da malattia di Fabry ereditano un deficit dell'enzima α -galattosidasi A che normalmente è responsabile della lisi del Gb_3 . Il deposito anomalo di Gb_3 aumenta con il tempo e, di conseguenza, si genera un accumulo di Gb_3 principalmente nei vasi sanguigni e nei tessuti. Le conseguenze finali di questo accumulo di Gb_3 vanno da episodi di dolore e compromissione della sensibilità periferica fino al collasso degli organi, in particolare dei reni, ma anche del cuore e del sistema cerebrovascolare.

Informazioni su PRX-102

PRX-102 (pegunigalsidasi alfa) è una nuova terapia enzimatica sostitutiva (ERT) PEGilata sviluppata per il trattamento delle esigenze mediche non soddisfatte dei pazienti affetti da malattia di Fabry, come il progressivo peggioramento della funzione renale. PRX-102 è una versione stabilizzata espressa in coltura cellulare vegetale e chimicamente modificata dell'enzima α -galattosidasi-A ricombinante. Le sub-unità proteiche sono legate in modo covalente tramite cross-

linking chimico usando frazioni di PEG brevi, dando luogo a una molecola con parametri farmacocinetici unici. Negli studi clinici è stato osservato che PRX-102 ha un'emivita circolatoria di circa 80 ore.

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.

Informazioni su Protalix BioTherapeutics, Inc.

Protalix è un'azienda biofarmaceutica focalizzata sullo sviluppo e la commercializzazione di proteine terapeutiche ricombinanti espresse attraverso il sistema di espressione basato su cellule vegetali di sua proprietà, ProCellEx[®]. Protalix è stata la prima azienda a ottenere l'approvazione della Food and Drug Administration (FDA) statunitense di una proteina prodotta attraverso il sistema di espressione basato su cellule vegetali in sospensione. L'esclusivo sistema di

espressione di Protalix rappresenta un nuovo metodo per sviluppare proteine ricombinanti su scala industriale.

Il primo prodotto di Protalix realizzato con ProCellEx, la taliglucerasi alfa, è stato approvato dalla FDA nel maggio 2012 e, successivamente, dalle autorità regolatorie di altri Paesi. Protalix ha concesso in licenza a Pfizer Inc. i diritti di sviluppo e commercializzazione di taliglucerasi alfa in tutto il mondo, escluso il Brasile, dove Protalix ne conserva tutti i diritti.

La pipeline di sviluppo di Protalix è costituita da versioni proprietarie di proteine terapeutiche ricombinanti destinate a mercati farmaceutici consolidati, tra cui i seguenti prodotti candidati: pegunigalsidasi alfa, una versione modificata e stabilizzata della proteina α -Galattosidasi A ricombinante umana per il trattamento della malattia di Fabry; PRX-115, un'uricasi PEGilata ricombinante espressa da cellule vegetali per il trattamento della gotta refrattaria; PRX-119, una DNasi I ad azione prolungata espressa da cellule vegetali per il trattamento di malattie correlate ai NET e altri prodotti. Protalix ha collaborato con Chiesi Farmaceutici S.p.A., sia negli Stati Uniti che al di fuori degli Stati Uniti, per lo sviluppo e la commercializzazione della pegunigalsidasi alfa.

Dichiarazioni previsionali

Nella misura in cui le dichiarazioni contenute nel presente comunicato stampa non sono strettamente storiche, tutte queste dichiarazioni sono previsionali e vengono rilasciate ai sensi delle disposizioni Safe-Harbor del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. I termini "aspettarsi", "anticipare", "ritenere", "stimare", "progettare", "potrebbe", "pianificare", "sarà", "vorrebbe", "dovrebbe" e "intende", e altre parole o frasi analoghe, sono destinate a identificare le dichiarazioni previsionali. Queste dichiarazioni previsionali sono soggette a rischi e incertezze noti e sconosciuti che possono far sì che l'esperienza e i risultati effettivi futuri differiscano materialmente dalle dichiarazioni rilasciate. Queste dichiarazioni si basano sulle nostre attuali convinzioni e aspettative in merito a tali risultati futuri. La scoperta e lo sviluppo di farmaci comportano un elevato grado di rischio e i risultati finali di una sperimentazione clinica possono essere diversi dai risultati preliminari della stessa. I fattori che potrebbero causare differenze sostanziali includono, tra gli altri: rischi relativi alla tempistica, all'avanzamento e alla probabilità di approvazione finale della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio da parte dell'Agenzia europea dei medicinali (EMA); il rischio che la Food and Drug Administration (FDA) statunitense non conceda l'approvazione all'immissione in commercio di PRX-102 entro la data del PDUFA o non la conceda affatto, e altri rischi relativi alle tempistiche, all'avanzamento e alla probabilità di approvazione finale della richiesta di licenza biologica (BLA) per PRX-102; il rischio che l'approvazione all'immissione in commercio di PRX-102 da parte della FDA o dell'EMA sia condizionata a limitazioni significative del suo uso; rischi legati al successo commerciale di PRX-102 e di altri nostri prodotti e candidati prodotti, se approvati; la probabilità che la FDA, l'EMA o altre autorità sanitarie di regolamentazione approvino un regime posologico alternativo; l'avvio o il completamento mancato o ritardato dei nostri studi preclinici e delle sperimentazioni cliniche, che possono dipendere da diversi fattori, tra cui: tempi di reclutamento dei pazienti più lenti del previsto; problemi di sicurezza imprevisti; determinazione di problemi di dosaggio; mancanza di efficacia durante gli studi clinici; incapacità di dimostrare in modo soddisfacente la non inferiorità rispetto alle terapie approvate; incapacità o riluttanza degli sperimentatori medici e delle commissioni di revisione istituzionale di seguire i nostri protocolli clinici; incapacità di monitorare adeguatamente i pazienti durante o dopo il trattamento; ritardi nell'approvazione o potenziale rifiuto

di eventuali domande presentate alla FDA, all'EMA o ad altre autorità sanitarie di regolamentazione per altri nostri prodotti candidati, e altri rischi relativi al processo di revisione; rischi associati all'epidemia della nuova malattia da coronavirus, o COVID-19, che potrebbero avere un impatto negativo sulla nostra attività, sugli studi preclinici e sulle sperimentazioni cliniche; rischi correlati a eventuali transazioni che potremmo effettuare nei mercati di private equity o pubblici per raccogliere capitale finalizzato al finanziamento di future attività di ricerca e sviluppo, spese generali e amministrative e capitale circolante; il rischio che i risultati delle sperimentazioni cliniche dei nostri prodotti candidati non supportino le dichiarazioni di sicurezza o efficacia applicabili, o che i nostri prodotti candidati non abbiano gli effetti desiderati o siano associati a effetti collaterali indesiderati o altre caratteristiche inaspettate; rischi relativi alla nostra capacità di mantenere e gestire rapporti con i nostri collaboratori, distributori o partner; rischi relativi all'importo e alla sufficienza della nostra liquidità ed equivalenti di cassa; rischi relativi alla nostra capacità di effettuare pagamenti programmati del capitale delle nostre obbligazioni o di qualsiasi altro debito in sospeso, di pagarne gli interessi o di rifinanziarli; la nostra dipendenza dalle prestazioni di fornitori terzi di servizi e forniture, compresi, a titolo esemplificativo, i servizi di sperimentazione clinica; ritardi nella preparazione e nella presentazione delle domande di approvazione regolatoria; rischi e incertezze intrinseci allo sviluppo di piattaforme farmacologiche e di prodotti del tipo che stiamo sviluppando; l'impatto dello sviluppo di terapie e/o tecnologie concorrenti da parte di altre aziende e istituzioni; potenziali rischi di responsabilità civile per i prodotti e rischi correlati alla garanzia di livelli adeguati di responsabilità civile per i prodotti e altre coperture assicurative necessarie; altri fattori descritti nei nostri documenti depositati presso la U.S. Securities and Exchange Commission. Le dichiarazioni contenute nel presente comunicato stampa sono valide solo alla data del presente documento e non ci assumiamo alcun obbligo di aggiornare tali informazioni, ad eccezione di quanto richiesto dalla legge.

Ufficio Stampa Gruppo Chiesi

Chiara Travagin

Rare Communication Manager

Tel: +39 348 8818985

Email c.travagin@chiesi.com

Alessio Pappagallo

Press Office Manager

Tel: +39 339 5897483

E-mail a.pappagallo@chiesi.com

Contatto con gli investitori di Protalix

Chuck Padala, Amministratore delegato

Consulenti LifeSci

646-627-8390

chuck@lifesciadvisors.com

Fonte: Chiesi Global Rare Diseases

Protalix BioTherapeutics, Inc.

PP-EF-0234 V1.0