

Chiesi Global Rare Diseases riceve l'approvazione della FDA per il gel topico a base di triterpeni di betulla per il trattamento dell'epidermolisi bollosa

Published On: 2023-12-19 09:40

Il gel topico a base di triterpeni di betulla è indicato nel trattamento di ferite a spessore parziale in pazienti di età pari o superiore a 6 mesi affetti da epidermolisi bollosa (EB) giunzionale e distrofica

Il gel topico a base di triterpeni di betulla è ben tollerato e ha raggiunto l'endpoint primario in modo statisticamente significativo, con il 41,3% dei pazienti che ha ottenuto la prima chiusura completa della ferita target entro 45 giorni, rispetto al 28,9% del braccio del gel di controllo, nello studio clinico di Fase 3^[1]

BOSTON, 19 dicembre 2023 - Chiesi Global Rare Diseases, business unit del Gruppo Chiesi nata per offrire terapie e soluzioni innovative alle persone affette da malattie rare, ha annunciato oggi che la Food and Drug Administration (FDA) statunitense ha approvato il gel topico a base di triterpeni di betulla per il trattamento di ferite a spessore parziale in pazienti di età pari o superiore a 6 mesi affetti da epidermolisi bollosa giunzionale (JEB) ed epidermolisi bollosa distrofica (DEB). Il gel topico a base di triterpeni di betulla è il primo trattamento approvato per le ferite associate a JEB, una rara forma di epidermolisi bollosa da moderata a grave che può colpire soggetti anche nei primi mesi di vita. Il gel topico a base di triterpeni di betulla è entrato a far parte del portafoglio Chiesi nell'ambito dell'accordo raggiunto durante l'acquisizione di Amryt Pharma nel gennaio di quest'anno.

L'epidermolisi bollosa è una malattia ereditaria debilitante della pelle, che la rende così fragile da danneggiarsi anche al minimo contatto. Questo disturbo raro e cronico colpisce neonati, bambini e adulti ed è estremamente doloroso; le vesciche ricorrenti e le ferite croniche possono provocare un dolore intollerabile e una mobilità limitata. La convivenza con l'epidermolisi bollosa comporta sfide quotidiane da affrontare, tra cui ferite a lenta guarigione e rischio di infezione e dolorosi cambi di medicazione.

Il gel topico a base di triterpeni di betulla viene somministrato a domicilio, consentendone l'integrazione nella routine terapeutica esistente. Il gel topico a base di triterpeni di betulla viene applicato sulla ferita, ma può anche essere applicato direttamente sulla medicazione della ferita ad ogni cambio della medicazione stessa.

"In Chiesi Global Rare Diseases siamo spinti dalla necessità di alleviare le sofferenze che la comunità delle malattie rare deve affrontare, fornendo terapie e soluzioni innovative che rispondano a bisogni non soddisfatti debilitanti". Giacomo Chiesi, Head of Global Rare Diseases

del Gruppo Chiesi, ha affermato che: *"Siamo grati per il sostegno di coloro che convivono con l'epidermolisi bollosa e dei loro caregiver, che ci ha permesso di ottenere questa importante approvazione della FDA e fornire con orgoglio il gel topico a base di triterpeni di betulla come soluzione per la cura delle ferite"*.

Brett Kopelan, Direttore Esecutivo di Debra of America, ha aggiunto: *"La decisione della FDA di approvare il gel topico a base di triterpeni di betulla fornisce a coloro che vivono con l'epidermolisi bollosa un'opzione terapeutica efficace e ben tollerata per il sintomo più evidente e difficile dell'epidermolisi bollosa, ovvero le ferite aperte che possono non guarire"*. Kopelan ha inoltre commentato che: *"La giornata di oggi rappresenta un'importante pietra miliare per coloro che convivono con l'epidemia bollosa giunzionale, in quanto il gel topico a base di triterpeni di betulla è il primo trattamento approvato dalla FDA per questa variante della malattia. Desidero ringraziare Chiesi per gli anni di stretta collaborazione con Debra of America e per la dedizione e l'impegno profusi nell'individuare un'opzione terapeutica per le persone affette da epidermolisi bollosa distrofica e giunzionale. Desidero inoltre ringraziare i pazienti che hanno partecipato agli studi clinici per mettere a disposizione di tutti questa opzione terapeutica"*.

Il gel topico a base di triterpeni di betulla è stato precedentemente approvato dalla Commissione Europea nel giugno 2022 per il trattamento di ferite a spessore parziale in adulti e bambini, a partire dai 6 mesi di età, affetti da JEB e DEB.

Informazioni sull'epidermolisi bollosa

L'epidermolisi bollosa (EB) è un gruppo raro di disturbi ereditari della cute, delle membrane mucose e dei rivestimenti epiteliali interni, caratterizzati da un'estrema fragilità cutanea e dallo sviluppo di vesciche. I pazienti affetti da forme gravi di epidermolisi bollosa soffrono di vesciche, ulcerazioni e cicatrici cutanee gravi e croniche, cicatrici mutilanti di mani e piedi, contratture articolari, stenosi dell'esofago e delle mucose, un elevato rischio di sviluppare carcinomi a cellule squamose aggressivi, infezioni e rischio di morte prematura.

Informazioni sul gel topico a base di triterpeni di betulla

Il gel topico a base di triterpeni di betulla è un medicinale utilizzato negli adulti e nei bambini a partire dai 6 mesi di età affetti da epidermolisi bollosa (EB). 1 g di gel contiene 100 mg di estratto (come estratto secco raffinato) di corteccia di *Betula pendula* Roth, *Betula pubescens* Ehrh. e ibridi di entrambe le specie, che contengono sostanze naturali note come triterpeni, tra cui betulina, acido betulinico, eritrodiole, lupeolo e acido oleanolico. Il gel è disponibile come farmaco topico da applicare sulla superficie della ferita con uno spessore di circa 1 mm coprendola poi con la medicazione, ma può anche essere applicato direttamente sulla medicazione della ferita ad ogni cambio della medicazione stessa.

Informazioni sullo studio EASE

Lo studio EASE ([NCT03068780](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03068780)) è il più grande studio globale di fase 3 mai eseguito su pazienti affetti da epidermolisi bollosa, condotto in 58 siti in 28 Paesi. Comprende una fase randomizzata controllata in doppio cieco di 3 mesi seguita da una fase in aperto a braccio singolo di 24 mesi. I

pazienti con ferite target da EB di dimensioni comprese tra 10 e 50 cm², presenti da > 21 giorni e < 9 mesi sono stati randomizzati in doppio cieco al trattamento dello studio con un rapporto 1:1 e alle medicazioni applicate secondo lo standard di cura. Nello studio sono stati arruolati 223 pazienti, tra cui 156 pazienti pediatrici. Il 100% di coloro che hanno completato la fase in doppio cieco è entrato nella fase di follow-up in aperto sulla sicurezza. L'endpoint primario dello studio era confrontare l'efficacia del gel topico a base di triterpeni di betulla rispetto al gel di controllo in base alla percentuale di pazienti con chiusura completa della ferita target entro 45 giorni dal trattamento. L'endpoint primario è stato raggiunto con significatività statistica (valore p = 0,013). Sebbene i principali endpoint secondari non abbiano raggiunto la significatività statistica, sono state osservate diverse differenze favorevoli.

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 Zero Emissioni Nette di gas a effetto serra (GHG) entro il 2035.

Chiesi, che vanta oltre 85 anni di esperienza, ha sede a Parma, opera in 31 Paesi, e conta oltre 6.500 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 Debra

Debra of America (Debra) è un'organizzazione senza scopo di lucro dedicata a migliorare la vita delle persone e delle famiglie colpite dall'epidermolisi bollosa (EB), una rara malattia genetica. L'organizzazione integra servizi diretti, attività di sostegno, educazione e ricerca per promuovere un cambiamento significativo a favore dei pazienti affetti da epidermolisi bollosa. L'epidermolisi bollosa è caratterizzata da una pelle fragile e soggetta alla formazione di vesciche che provocano dolore al minimo sfregamento. Debra fornisce risorse vitali, crea una comunità e promuove la ricerca per alleviare le difficoltà associate all'epidermolisi bollosa, sostenendo i pazienti e i loro cari. Grazie all'impegno di lunga data nella sensibilizzazione e nello studio dell'EB, Debra rappresenta un pilastro imprescindibile. Unendo caregiver, sostenitori e simpatizzanti, l'organizzazione immagina un futuro in cui il fardello dell'EB venga alleggerito, consentendo alle persone colpite di condurre una vita più serena. Per ulteriori informazioni su Debra, visitare il sito www.debra.org.

[1] Kern JS, et al. Br J Dermatol. 2023 ; 188:12-21