

Chiesi Global Rare Diseases e Protalix BioTherapeutics annunciano l'approvazione da parte della Commissione Europea per uno schema di somministrazione aggiuntivo ogni quattro settimane per Elfabrio® (pegunigalsidasi alfa)

Published On: 2026-03-18 09:00

Il regime approvato riduce il carico terapeutico per i pazienti idonei, le loro famiglie e il sistema sanitario, estendendo l'intervallo tra le infusioni da ogni due settimane a ogni quattro settimane per coloro che risultano stabili in terapia enzimatica sostitutiva (ERT).

A seguito di questa decisione — annunciata alla vigilia del Fabry Disease Awareness Month di aprile — Chiesi Global Rare Diseases collaborerà con i Paesi dell'Unione Europea per favorire un più ampio accesso al nuovo schema posologico a coloro che convivono con questa patologia.

PARMA (Italia) e CARMIEL (Israele) – 9 marzo 2026 – Chiesi Global Rare Diseases, business unit del Gruppo Chiesi creata per offrire soluzioni innovative alle persone che convivono con malattie rare, e Protalix BioTherapeutics, Inc. (NYSE American: PLX), azienda biofarmaceutica dedicata alla ricerca, sviluppo, produzione e commercializzazione di terapie innovative per patologie rare con significativo bisogno clinico, annunciano oggi che la Commissione Europea (CE) ha approvato il regime di somministrazione 2 mg/kg ogni quattro settimane (E4W) per pazienti adulti con malattia di Fabry stabili in terapia enzimatica sostitutiva (ERT), facendo seguito al parere positivo emesso dal Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA).

“L'approvazione da parte della Commissione Europea del regime di somministrazione 2 mg/kg ogni quattro settimane rappresenta un importante passo avanti per coloro che convivono con la malattia di Fabry e per le loro famiglie,” ha dichiarato **Giacomo Chiesi, Executive Vice President, Chiesi Global Rare Diseases**. “Poiché la malattia di Fabry richiede un trattamento per tutta la vita, la frequenza delle infusioni diventa inevitabilmente parte della quotidianità di pazienti e caregiver. Offrendo un'opzione che estende l'intervallo di somministrazione da due a quattro settimane per i pazienti idonei e stabilizzati in terapia enzimatica sostitutiva, vogliamo favorire una maggiore flessibilità e contribuire ad alleviare il carico complessivo del trattamento. Il nostro obiettivo è semplice ma significativo: permettere alle persone di dedicare meno tempo alla gestione della malattia e più tempo alla propria vita. Questo risultato riflette il nostro impegno verso un'innovazione che nasce dall'ascolto e dalla comprensione delle esperienze reali della comunità

Fabry.”

“Nella malattia di Fabry, le decisioni terapeutiche a lungo termine devono conciliare la gestione clinica con le esigenze di una terapia continuativa,” ha affermato **Prof. Aleš Linhart, DrSc, FESC**. “L’approvazione del nuovo regime 2 mg/kg ogni quattro settimane offre un’ulteriore possibilità che può aiutare a ridurre il carico cumulativo della terapia per i pazienti idonei, mantenendo al contempo la continuità delle cure.”

“Questa approvazione amplia ulteriormente il panorama terapeutico per la malattia di Fabry nell’Unione Europea, introducendo un nuovo approccio posologico che può contribuire a migliorare la gestione a lungo termine della patologia,” ha dichiarato **Dror Bashan, Presidente e CEO di Protalix BioTherapeutics**. “Si tratta non solo di un avanzamento scientifico, ma anche di un impegno concreto a ottimizzare l’erogazione delle cure a supporto dei pazienti e dei sistemi sanitari.”

“Per molte persone che convivono con la malattia di Fabry, il trattamento rappresenta un impegno costante che incide su quasi ogni aspetto della vita quotidiana,” ha aggiunto **Mary Pavlou, Presidente del Fabry International Network (FIN)**. “Questa approvazione consente di ridurre il numero delle infusioni, contribuendo a diminuire il carico complessivo del trattamento per pazienti e famiglie e permettendo loro di dedicare più tempo alla propria vita al di là del trattamento.”

L’approvazione della Commissione Europea si basa sui risultati dello studio BRIGHT (PB102F50), uno studio open-label di switch-over progettato per valutare la sicurezza, l’efficacia e la farmacocinetica del regime alternativo di pegunigalsidasi alfa 2 mg/kg ogni quattro settimane nell’arco di 52 settimane. Ulteriore supporto deriva dallo studio di estensione open-label CLI06657AA103 (ex PB102F51),

A seguito dell’approvazione del nuovo regime, Protalix riceverà da Chiesi un pagamento di 25 milioni di dollari legato al completamento di questo step del processo regolatorio.

Informazioni sulla malattia di Fabry

La malattia di Fabry è una patologia rara ereditaria dovuta a mutazioni del gene GLA, che determinano un deficit dell’enzima alfa-galattosidasi A. Questo comporta l’accumulo di globotriaosilceramide (GL3) in vari organi e tessuti, interessando cuore, reni, pelle, sistema nervoso e altri organi.³ La malattia può causare affaticamento, dolore cronico, alterazioni gastrointestinali, ridotta capacità di sudorazione, progressiva insufficienza renale, complicanze cardiache e aumento del rischio di ictus.⁴

Colpisce uomini e donne e può manifestarsi dall'infanzia all'età adulta, spesso con diagnosi tardiva o errata. La diagnosi precoce e l'accesso tempestivo a trattamenti adeguati — come la terapia enzimatica sostitutiva o i chaperoni farmacologici — sono fondamentali per gestire i sintomi e rallentare la progressione della malattia.³

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, Chiesi è 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 90 anni di esperienza, ha sede a Parma, con 31 filiali commerciali nel mondo, e conta oltre 7.500 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.

Per maggiori informazioni: [?www.chiesi.com](http://www.chiesi.com).

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](http://www.chiesirarediseases.com).

Protalix BioTherapeutics, Inc.

Protalix è un'azienda biofarmaceutica focalizzata sulla scoperta, lo sviluppo, la produzione e la commercializzazione di terapie innovative per le malattie rare. Protalix ha studiato, sviluppato e attualmente produce due terapie di sostituzione enzimatica oggi disponibili in molteplici mercati. Queste terapie sono proteine terapeutiche ricombinanti espresse attraverso il sistema proprietario di espressione in cellule vegetali ProCellEx®. ProCellEx è un sistema unico basato su cellule vegetali che consente a Protalix di produrre proteine ricombinanti su scala industriale senza alcuna esposizione a cellule di origine mammifera. Protalix è la prima azienda ad aver ottenuto l'approvazione della Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti per una proteina prodotta tramite un sistema di espressione cellulare vegetale in sospensione. Protalix ha concesso a Pfizer Inc. i diritti globali di sviluppo e commercializzazione di taliglucerasse alfa, Elelyso®, per il trattamento della malattia di Gaucher, escluso il Brasile, dove Protalix mantiene tutti i diritti.

Protalix ha collaborato con Chiesi Farmaceutici S.p.A. per lo sviluppo e la commercializzazione globale di pegunigalsidasi alfa, approvata sia dalla FDA che dall'EMA nel maggio 2023. La pipeline di sviluppo di Protalix include, tra gli altri, due versioni proprietarie di proteine terapeutiche ricombinanti rivolte a mercati farmaceutici già affermati: PRX-115, una uricasasi PEGilata ricombinante espressa in cellule vegetali per il trattamento della gotta non controllata; e PRX-119, una DNasi I a lunga durata d'azione espressa in cellule vegetali per il trattamento delle patologie correlate alle NETs.

Per ulteriori informazioni, visita www.protalix.com.

Protalix BioTherapeutics, Inc. Forward-Looking Statements

Nella misura in cui le dichiarazioni contenute in questo comunicato stampa non siano strettamente di carattere storico, tutte tali dichiarazioni devono essere considerate come dichiarazioni previsionali e sono formulate ai sensi delle disposizioni di "safe harbor" previste dal Private Securities Litigation Reform Act del 1995. I termini "anticipare", "credere", "stimare", "aspettarsi", "potere", "continuare", "intendere", "pianificare", "potenziale", "prevedere", "proiettare" e altri termini o espressioni di significato simile hanno lo scopo di identificare dichiarazioni previsionali. Tali dichiarazioni previsionali sono soggette a rischi e incertezze, noti e ignoti, che potrebbero far sì che l'esperienza futura effettiva e i risultati differiscano in modo sostanziale da quanto dichiarato.

Queste dichiarazioni si basano sulle nostre attuali convinzioni e aspettative riguardo ai possibili risultati futuri. La scoperta e lo sviluppo di farmaci comportano un elevato livello di rischio e i risultati finali di uno studio clinico possono differire dai risultati preliminari dello stesso studio.

I fattori che potrebbero determinare differenze sostanziali includono, tra gli altri: il rischio che la Commissione Europea non approvi il parere positivo del CHMP che raccomanda l'approvazione del regime di dosaggio 2 mg/kg ogni quattro settimane (E4W) per pegunigalsidasi alfa negli adulti con malattia di Fabry; rischi legati alla commercializzazione di pegunigalsidasi alfa; rischi relativi all'accettazione del mercato, alla concorrenza, al rimborso e alle azioni regolatorie

riguardanti pegunigalsidasi alfa, incluso quanto derivante dall'avvertenza in riquadro contenuta nell'approvazione FDA del prodotto; ritardi nell'approvazione o possibili rifiuti delle domande presentate alla FDA, all'EMA o ad altre autorità regolatorie competenti per i candidati terapeutici di Protalix, e altri rischi legati al processo di revisione; il rischio che i risultati degli studi clinici non supportino le affermazioni applicabili di sicurezza o efficacia; rischi relativi a modifiche ai dati preliminari, top-line o intermedi pubblicati; i rischi e le incertezze intrinseci nello sviluppo di piattaforme terapeutiche e prodotti del tipo da noi sviluppato; l'impatto dello sviluppo di terapie concorrenti e/o tecnologie alternative da parte di altre aziende; nonché rischi relativi a modifiche delle leggi, norme e regolamenti sanitari negli Stati Uniti o altrove; e altri fattori descritti nei documenti presentati da Protalix alla U.S. Securities and Exchange Commission.

Le dichiarazioni contenute in questo comunicato stampa sono valide esclusivamente alla data odierna e Protalix declina ogni obbligo di aggiornare tali informazioni, salvo quanto richiesto dalla legge.

Chiesi Media Contact?

Chiara Travagin
Head of Global Communications, Rare
E-mail: c.travagin@chiesi.com

Anna Bonisoli Alquati
Head of Global External Communications
E-mail: mediarelations@chiesi.com

References?

1. Holida, M., et al., (2024). *A phase III, open-label clinical trial evaluating pegunigalsidasi alfa administered every 4 weeks in adults with Fabry disease previously treated with other enzyme.* Journal of Inherited Metabolic Disease. doi:10.1002/jimd.12795.
2. Bernat et al., (2025). *Extending the interval between pegunigalsidasi alfa infusions in patients with Fabry disease: five-year interim results from the ongoing BRIGHT51 study.* Abstract presented at ICIEM Congress 2025.
3. Mehta, A., & Hughes, D. A. (2024). *Fabry disease.* In M. P. Adam, S. Bick, G. M. Mirzaa, et al. (Eds.), *GeneReviews®*. University of Washington, Seattle.
4. Cleveland Clinic. (2025, October 9). *Fabry disease: Symptoms & causes.*