

Chiesi Global Rare Diseases e Protalix BioTherapeutics ricevono parere positivo dal CHMP per uno schema di somministrazione aggiuntivo ogni quattro settimane per Elfabrio® (pegunigalsidasi alfa) nell'Unione Europea

Published On: 2026-01-30 12:00

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) emette un parere positivo a seguito della procedura di riesame. Il dossier passa ora alla valutazione della Commissione Europea (CE), con una decisione attesa entro marzo 2026.

Se approvato, questo nuovo schema terapeutico potrà ridurre in modo significativo il carico per i pazienti idonei, per le loro famiglie e per il sistema sanitario, eliminando la necessità di recarsi in ospedale ogni due settimane.

PARMA, Italia e CARMIEL, Israele – 30 gennaio 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 un importante aggiornamento relativo a pegunigalsidasi alfa. Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha emesso un parere positivo raccomandando l'approvazione del regime di somministrazione 2 mg/kg ogni quattro settimane (E4W) per pazienti adulti con malattia di Fabry stabili in terapia enzimatica sostitutiva (ERT). Questo parere positivo segue il riesame della richiesta relativa al nuovo schema posologico presentata dall'azienda.

*“È un privilegio poter offrire alla comunità Fabry un'opzione terapeutica efficace e ben tollerata, e siamo entusiasti che il parere positivo del CHMP in merito ad un regime di somministrazione ogni quattro settimane rappresenti un passo avanti verso la riduzione del carico terapeutico associato a questa patologia”, ha dichiarato **Giacomo Chiesi, Executive Vice President, Chiesi Global Rare Diseases**. “La nostra mission è migliorare le terapie sulla base dei reali bisogni delle persone, affinché possano accedere non solo alla cura più adeguata, ma anche a un trattamento che si integri con la loro vita. Estendere l'intervallo tra le infusioni permette alle persone di concentrarsi su ciò che conta davvero: vivere la propria quotidianità.”*

*“Ampliare la gamma delle opzioni terapeutiche è fondamentale per rispondere meglio alle esigenze delle persone con malattia di Fabry,” ha affermato **Prof. Aleš Linhart, DrSc, FESC**. “Oltre a garantire un adeguato controllo della patologia, un intervallo di somministrazione più lungo tiene conto delle preferenze dei pazienti e contribuisce a ridurre l'impatto della terapia sulle attività quotidiane.”*

*“Il parere positivo del CHMP rappresenta una conferma ulteriore dell’impegno di Protalix nel far progredire le terapie per la comunità Fabry. Insieme a Chiesi, siamo profondamente grati ai pazienti, agli sperimentatori e agli operatori sanitari che hanno partecipato ai nostri programmi clinici”, ha dichiarato **Dror Bashan, Presidente e CEO di Protalix**. “Questo risultato sottolinea la solidità della nostra pipeline e della piattaforma produttiva proprietaria ProCellEx®, sviluppata grazie a molti anni di ricerca rigorosa e progressi clinici.”*

*“Il parere positivo del CHMP sul regime ogni quattro settimane riconosce l’importanza di ridurre il carico terapeutico per le persone che convivono con la malattia di Fabry e per le loro famiglie,” ha dichiarato **Mary Pavlou, Presidente della Fabry International Network (FIN)**. “Allungare l’intervallo tra le infusioni consente di conciliare meglio la terapia con le esigenze di vita quotidiana, comprese quelle lavorative, scolastiche e familiari. È un passo che riflette una cura più sostenibile e rispettosa delle priorità delle persone.”*

Il parere del CHMP si basa sui risultati dello studio BRIGHT (PB102F50), uno studio open-label di switch-over progettato per valutare sicurezza, efficacia e farmacocinetica (PK) del regime di somministrazione 2 mg/kg E4W nell’arco di 52 settimane.¹

Ulteriore supporto deriva dallo studio di estensione open-label CLIO6657AA103 (ex PB102F51), con un’esposizione mediana di quasi 6 anni,² e da aggiornamenti del modello di farmacocinetica di popolazione (PopPK) e analisi esposizione-risposta, basati su dati provenienti da diversi studi clinici.

In caso di approvazione da parte della Commissione Europea, 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.

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.

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 uricasi 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: mediarelations@chiesi.com

References

- Holida, M, et al., (2024). *A phase III, open-label clinical trial evaluating pegunigalsidase 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.
- Bernat et al., (2025). *Extending the interval between pegunigalsidase alfa infusions in patients with Fabry disease: five-year interim results from the ongoing BRIGHT51 study* Abstract presented at ICIEM Congress 2025.
- 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.
- Cleveland Clinic. (2025, October 9). *Fabry disease: Symptoms & causes*.