

## **Acalabrutinib raccomandato in Europa per la designazione di Farmaco Orfano in tre indicazioni**

### **Le tre opinioni positive riguardano il trattamento della leucemia linfatica cronica / linfoma linfocitico a piccole cellule, del linfoma mantellare e del linfoma linfoplasmacellulare**

Basiglio, 09 Marzo - AstraZeneca e Acerta Pharma BV, società di cui AstraZeneca detiene una partecipazione azionaria di maggioranza, hanno annunciato che il Comitato per i Medicinali Orfani (COMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha emesso tre pareri positivi per il riconoscimento di acalabrutinib (ACP-196) come farmaco orfano. Le tre opinioni positive riguardano il trattamento della leucemia linfatica cronica (LLC) / linfoma linfocitico a piccole cellule (SLL), del linfoma mantellare (MCL) e del linfoma linfoplasmacellulare (macroglobulinemia di Waldenström, WM).

Sean Bohan, Vicepresidente Esecutivo dell'Unità di Sviluppo Globale dei Farmaci e Chief Medical Officer di AstraZeneca, ha dichiarato: "I tre pareri positivi emessi che raccomandano acalabrutinib per la designazione di farmaco orfano rappresentano un traguardo molto importante. Confermano infatti la validità strategica del nostro investimento in Acerta, dimostrando chiaramente i progressi compiuti nello sviluppo di un potenziale farmaco d'eccellenza che potrebbe rappresentare una vera svolta nel trattamento dei pazienti affetti da diverse forme di tumori del sangue. I pareri positivi testimoniano la forte necessità di nuove terapie per queste condizioni gravi e potenzialmente letali, sostenendo il nostro impegno per offrire ai pazienti il più rapidamente possibile questi nuovi farmaci".

La LLC è un tumore del sangue e del midollo osseo a crescita lenta, che costituisce circa un caso su quattro di leucemia<sup>i, ii</sup>. La maggior parte dei pazienti affetti da LLC va incontro alla progressione della malattia nonostante la risposta iniziale alla terapia e possono richiedere un trattamento aggiuntivo<sup>iii</sup>. Il SLL è una malattia clinicamente simile, localizzata nei linfonodi<sup>iv</sup>.

Il MCL è un linfoma non-Hodgkin (NHL) aggressivo, il cui trattamento registra solitamente risultati molto scarsi<sup>v</sup>. Il MCL rappresenta circa il 5% di tutti i linfomi non-Hodgkin<sup>vi</sup>. Il suo nome deriva dal fatto che le cellule tumorali hanno origine nella zona mantellare del linfonodo<sup>vi</sup>.

Il WM è un tumore raro e a crescita lenta che colpisce prevalentemente gli individui più anziani, con un'età media, al momento della diagnosi, di 60 anni<sup>vii, viii</sup> e una mediana di sopravvivenza che va da cinque a quasi undici anni<sup>vii, viii</sup>.

Il COMP esprime un parere sulla designazione di farmaco orfano, successivamente il parere è sottoposto alla Commissione Europea (CE) per l'approvazione. La designazione di Farmaco Orfano è assegnata ai medicinali destinati a essere utilizzati nel trattamento delle malattie rare<sup>ix</sup>. Per ottenere lo status di farmaco orfano da parte della CE, un farmaco deve essere destinato al trattamento, alla prevenzione o alla diagnosi di una malattia potenzialmente letale con una prevalenza minore di cinque casi su 10.000 nell'Unione Europea. Inoltre il farmaco in questione deve fornire un beneficio significativo alle persone colpite dalla malattia. Lo status di farmaco orfano assicura alle case farmaceutiche gli incentivi per lo sviluppo e l'esclusiva di mercato per determinati composti e farmaci.

Oltre agli studi di fase II/III in patologie come CLL, MCL e WM, acalabrutinib al momento è in

# Comunicato Stampa

---

fase di sperimentazione in studi di fase I/II in monoterapia, nonché in combinazione con immunoterapie o chemioterapie in altri tumori del sangue e tumori solidi.

## **NOTE PER I REDATTORI**

- i Chronic Lymphocytic Leukemia. Leukemia & Lymphoma Society (Sito Web). <http://www.lls.org/leukemia/chronic-lymphocytic-leukemia/> Consultato in data 19/2/2016.
- ii What are the key statistics for chronic lymphocytic leukemia? American Cancer Society (Sito Web). <http://www.cancer.org/cancer/leukemia-chroniclymphocyticcll/detailedguide/leukemia-chronic-lymphocytic-key-statistics> . Consultato in data 19/2/2015.
- iii Veliz M, Pinilla-Ibarz J. Treatment of relapsed or refractory chronic lymphocytic leukemia. *Cancer Control*. 2012; 19(1):37-53.
- iv Chronic lymphocytic leukemia/Small lymphocytic lymphoma, National Cancer Institute (Sito Web). <http://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms?cdrid=641290> Consultato in data 19/2/2016.
- v Campo E and Rule S. Mantle cell lymphoma: evolving management strategies. *Blood*. 2015 Jan 1;125(1):48-55.
- vi Mantle Cell Lymphoma, Lymphoma.org (Sito Web). <http://www.lymphoma.org/site/pp.asp?c=bkLTKaOQLmK8E&b=6300157> Consultato in data 19/2/2016.
- vi Lymphoplasmacytic lymphoma. National Cancer Institute. Surveillance, Epidemiology, and End Results program. <http://seer.cancer.gov/seertools/hemelymph/51f6cf57e3e27c3994bd5363/> Consultato in data 19/2/2016.
- vii Dimopoulos MA, Kastritis E, Ghobrial IM. Waldenström's macroglobulinemia: a clinical perspective in the era of novel therapeutics. *Ann Oncol*. 2016 Feb;27(2):233-40.
- viii Oza and Rajkumar. Waldenstrom macroglobulinemia: prognosis and management. *Blood Cancer Journal* (2015) 5, e394; doi:10.1038/bcj.2015.28
- ix European Medicines Agency (Sito Web). "Orphan Designation." [http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general\\_content\\_000029.jsp&mid=WC0b01ac05800240ce](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp&mid=WC0b01ac05800240ce). Consultato in data 17/2/2016.

## **Acalabrutinib**

Acalabrutinib è un inibitore della BTK di seconda generazione, irreversibile e altamente selettivo, finora utilizzato per il trattamento di circa 1.000 pazienti nell'ambito degli studi clinici previsti dall'intero programma di sviluppo. Oltre 600 pazienti sono stati trattati con acalabrutinib in monoterapia. I dati di fase I/II a sostegno di un profilo di sicurezza positivo e di una solida efficacia nei pazienti affetti da leucemia linfocitica cronica recidivata/refrattaria sono stati presentati in occasione dell'American Society of Hematology Annual Meeting & Exposition a dicembre 2015, e contemporaneamente pubblicati sul *New England Journal of Medicine*.

Studi potenzialmente registrativi nell'ambito delle neoplasie ematologiche maligne sono in corso. Inoltre, è attualmente in corso anche uno studio *head-to-head* con ibrutinib nei pazienti con leucemia linfatica cronica ad alto rischio.

Acalabrutinib è inoltre oggetto di studio di diverse sperimentazioni di fase I/II nei tumori solidi, come monoterapia o in associazione a inibitori del checkpoint immunitario o ad altri regimi terapeutici standard.

## **Acerta Pharma**

Acerta è un'azienda leader nel campo delle tecnologie del legame covalente e la applica allo sviluppo di nuove terapie selettive, pensate per il trattamento del cancro e delle malattie autoimmuni. La molecola principale di Acerta, acalabrutinib (ACP-196), è un potente inibitore selettivo della BTK. La società ha attività a Oss, nei Paesi Bassi, e varie sedi negli Stati Uniti. La sede statunitense si trova a Redwood City, in California. AstraZeneca è la casa madre di Acerta BV.

## **AstraZeneca in Oncologia**

L'eredità di AstraZeneca in campo oncologico ha radici profonde e offre un portfolio di nuovi farmaci in rapida crescita, potenzialmente in grado di trasformare le vite dei pazienti e il futuro della società. Con il lancio di almeno 6 nuovi medicinali tra il 2014 e il 2020 e un'ampia pipeline di piccole molecole e biologici in fase di sviluppo, l'azienda intende portare avanti la divisione di New Oncology come una delle sei piattaforme di crescita di

## Comunicato Stampa

---

AstraZeneca focalizzate sui tumori a polmoni, ovaie, mammella e sangue. Oltre alle nostre competenze principali, siamo impegnati attivamente in partnership innovative e investimenti che accelerino il conseguimento della nostra strategia, come dimostra l'investimento in Acerta Pharma nel campo dell'ematologia.

Sfruttando le potenzialità di quattro piattaforme scientifiche - immuno-oncologia, driver genetici del cancro e della resistenza, riparazione dei danni al DNA e coniugati farmaco-anticorpo - e supportando lo sviluppo di combinazioni di farmaci personalizzate, AstraZeneca vuole ridefinire la terapia antitumorale ed eliminare il cancro come causa di morte in futuro.

### **AstraZeneca: What Science Can Do**

AstraZeneca è un'azienda biofarmaceutica globale orientata all'innovazione e focalizzata su scala internazionale nella ricerca scientifica, nello sviluppo e nella commercializzazione di farmaci con obbligo di prescrizione medica per patologie cardiovascolari, metaboliche, respiratorie, infiammatorie, autoimmuni, oncologiche, infezioni e disturbi del sistema nervoso centrale. AstraZeneca opera in oltre 100 Paesi e i suoi farmaci innovativi sono utilizzati da milioni di pazienti nel mondo. Nel 2014 ha investito in R&S 4,4 miliardi di dollari pari a circa il 17% del proprio fatturato globale.

In Italia ha in corso 77 studi clinici che coinvolgono 558 centri di ricerca e circa 18 mila pazienti.

Maggiori informazioni su: <http://www.astrazeneca.it/>