

Il farmaco di AstraZeneca in fase di sviluppo per la neuromielite ottica riceve la designazione di medicinale orfano dalla FDA

La neuromielite è una malattia autoimmune del sistema centrale nervoso nella quale il sistema immunitario del corpo attacca le cellule sane. Attualmente non vi sono cure o farmaci approvati per questa patologia. FDA attribuisce lo stato di orfano a farmaci potenzialmente sicuri ed efficaci destinati al trattamento, alla diagnosi o alla prevenzione, di malattie o disturbi rari che interessano meno di 200.000 persone negli Stati Uniti.

Milano, 23 marzo 2016 - AstraZeneca e la sua divisione di ricerca e sviluppo biologico globale, MedImmune, hanno annunciato che la Food and Drug Administration statunitense (FDA) ha concesso la designazione di medicinale orfano per MEDI-551, un anticorpo monoclonale anti-CD19 sperimentale per il trattamento dei pazienti affetti da neuromielite ottica (NMO) e da disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD). Sviluppato da MedImmune, MEDI-551 si trova attualmente nella Fase IIb di sviluppo clinico per la NMO.

La NMO è una malattia autoimmune del sistema centrale nervoso, rara e mortale, per cui il sistema immunitario del corpo attacca le cellule sane, più comunemente nei nervi ottici e nel midollo spinale, provocando gravi danni. La NMO provoca debolezza muscolare grave e paralisi, perdita della vista, insufficienza respiratoria, problemi con le funzioni di intestino e vescica e dolore neuropatico¹. Attualmente non vi sono cure o farmaci approvati per la NMO, che colpisce circa cinque persone su 100.000.

Bing Yao, Vice presidente senior della divisione Ricerca e Sviluppo e Direttore dell'unità Medicine innovative per le malattie respiratorie, infiammatorie e autoimmuni di MedImmune, ha affermato: "La designazione di farmaco orfano per MEDI-551 sottolinea il bisogno significativo per un farmaco efficace per il trattamento della NMO, una malattia rara devastante che provoca crescenti danni e disabilità ad ogni attacco. MEDI-551 è dotato di un meccanismo d'azione unico e mirato che offre un trattamento potenziale della NMO. Saremo lieti di collaborare con l'FDA per portare quanto prima MEDI-551 ai pazienti affetti da NMO."

La ricerca ha evidenziato che i pazienti affetti da NMO e NMOSD sviluppano anticorpi contro una proteina del proprio corpo chiamata aquaporin-4 e tali anticorpi svolgono un ruolo chiave nella patogenesi della NMO. MEDI-551 prende direttamente di mira, distruggendole, le cellule che producono questi anticorpi.

Il programma di designazione dei medicinali orfani dell'FDA attribuisce lo stato di orfano a farmaci potenzialmente sicuri ed efficaci destinati al trattamento, alla diagnosi o alla prevenzione, sicuri ed efficaci, di malattie o disturbi rari che interessano meno di 200.000 persone negli Stati Uniti².

¹ National Institute of Neurological Disorders and Stroke (Istituto nazionale per i disturbi neurologici e l'ictus, National Institutes of Health (Istituti nazionali di sanità)

http://www.ninds.nih.gov/disorders/neuromyelitis_optica/neuromyelitis_optica.htm

² Food and Drug Administration degli Stati Uniti. Sviluppo di prodotti per malattie e disturbi rari

<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>

Comunicato stampa

NOTE PER I REDATTORI

Informazioni su MEDI-551

MEDI-551 è un anticorpo monoclonale umanizzato che si lega con grande affinità alla CD19, una proteina espressa su una vasta gamma di cellule B, incluse alcune cellule B dette plasmablasti. La ricerca ha evidenziato che gli auto-anticorpi chiamati AQP4-Ab (o NMO-IgG) diretti contro la proteina aquaporin-4, prodotti in questi plasmablasti, svolgono un ruolo chiave nella patogenesi della NMO. MEDI-551 si lega direttamente alla proteina CD19 sulla superficie dei plasmablasti e li distrugge. MEDI-551 è attualmente oggetto di valutazione nell'ambito di un test clinico sulla neuromielite ottica (NMO) e i disturbi dello spettro della neuromielite ottica. MEDI-551 è inoltre oggetto di studio in un test di Fase II sul linfoma diffuso a cellule B. Per ulteriori informazioni sul test clinico di MEDI-551 per la NMO, visitare clinicaltrials.gov.

Informazioni sulla neuromielite ottica (NMO) e i disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD)

La NMO è una malattia autoimmune rara e grave, che può avere esiti mortali. Con la NMO, le cellule e gli anticorpi del sistema immunitario attaccano le cellule dei nervi ottici e del midollo spinale. Il danno subito dai nervi ottici provoca gonfiore e infiammazione, con conseguente dolore e perdita della vista; il danno al midollo spinale può provocare debolezza, paralisi, perdita di sensibilità, problemi con le funzioni di vescica e intestino, e insufficienza respiratoria. Ogni attacco aggrava i danni e la disabilità³. I dati attualmente disponibili dimostrano che la diffusione della NMO è di circa 5 casi su 100.000 persone⁴. La malattia colpisce principalmente le donne e potrebbe essere più comune tra i non caucasici. Attualmente non esistono cure o trattamenti approvati per la NMO. "Disturbi dello spettro della neuromielite ottica" (NMOSD) è un termine di recente invenzione che unifica la NMO e le sindromi ad essa correlate.

Informazioni su MedImmune

MedImmune è la divisione di ricerca e sviluppo biologico globale di AstraZeneca, un'azienda biofarmaceutica globale improntata sull'innovazione che si concentra sulla scoperta, sullo sviluppo e sulla commercializzazione di piccole molecole e farmaci biologici soggetti a prescrizione. MedImmune è all'avanguardia nella ricerca innovativa ed esplora nuovi percorsi in aree terapeutiche essenziali, come le malattie respiratorie, infiammatorie e autoimmuni, le malattie cardiovascolari e metaboliche, l'oncologia, le neuroscienze, e le infezioni e i vaccini. La sede centrale di MedImmune si trova a Gaithersburg, nel Maryland, ed è uno dei centri globali di ricerca e sviluppo di AstraZeneca, mentre le altre sedi si trovano a Cambridge, nel Regno Unito, e a Mountain View, in California. Maggiori informazioni su www.medimmune.com.

Informazioni su AstraZeneca

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 2015 ha investito in R&S 5,6 miliardi di dollari pari a circa il 23% del proprio fatturato globale.

³ National Institute of Neurological Disorders and Stroke (Istituto nazionale per i disturbi neurologici e l'ictus, National Institutes of Health (Istituti nazionali di sanità)

http://www.ninds.nih.gov/disorders/neuromyelitis_optica/neuromyelitis_optica.htm

⁴ <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/16769866>

Comunicato stampa

In Italia ha in corso 87 studi clinici che coinvolgono quasi 600 centri di ricerca e più di 18 mila pazienti.

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