

Il farmaco di AstraZeneca studiato per il disturbo dello spettro della neuromielite ottica riceve la designazione di farmaco orfano in Europa

Milano, 31 marzo 2017 - AstraZeneca e la sua divisione di ricerca e sviluppo biologico globale, MedImmune, hanno annunciato oggi che l'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha concesso la designazione di farmaco orfano a inebilizumab (precedentemente MEDI-551) per il trattamento del disturbo dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD). Sviluppato da MedImmune, inebilizumab si trova attualmente nella Fase IIb di sviluppo clinico per il NMOSD.

Il NMOSD è una malattia rara, autoimmune del sistema nervoso centrale, e potenzialmente mortale, in cui il sistema immunitario del corpo attacca le cellule sane, più frequentemente nei nervi ottici e nel midollo spinale, provocando gravi danni. Il NMOSD può provocare debolezza muscolare grave e paralisi, perdita della vista, insufficienza respiratoria, disfunzioni intestinali e vescicali, e dolore neuropatico.[1] Attualmente non vi sono cure o farmaci approvati per il NMOSD, che colpisce circa cinque persone su 100.000.

Bing Yao, Senior Vice President, R&D and Head of the Respiratory, Inflammation and Autoimmunity Innovative Medicines unit di MedImmune, ha affermato: “La designazione di farmaco orfano assegnata dall'EMA sottolinea che esiste una significativa esigenza senza risposta per i pazienti affetti da NMOSD, che attualmente non hanno altre opzioni e ad ogni nuovo attacco rischiano ulteriori danni e disabilità. Siamo entusiasti di continuare a sviluppare questo potenziale nuovo farmaco per il trattamento dei pazienti affetti da questa malattia rara e devastante.”

La ricerca ha dimostrato che i pazienti affetti da NMOSD sviluppano anticorpi contro una proteina chiamata aquaporina-4 nel nervo ottico e nel midollo spinale. Tali anticorpi svolgono un ruolo chiave nella patogenesi del NMOSD. Inebilizumab prende direttamente di mira e induce una deplezione delle cellule che producono questi anticorpi.

La designazione di farmaco orfano è uno status assegnato a un medicinale destinato all'uso per le malattie rare. Al fine di ottenere la designazione di farmaco orfano dall'EMA, un farmaco deve essere destinato al trattamento, alla prevenzione o alla diagnosi di una malattia che sia potenzialmente mortale e sia diffusa in meno di cinque persone su 10.000 nell'Unione europea. Inoltre, il farmaco in questione deve avere l'obiettivo di portare un vantaggio significativo a coloro che soffrono della patologia. La designazione di farmaco orfano offre alle aziende incentivi per lo sviluppo e l'esclusiva di mercato per i prodotti e i farmaci designati. La designazione di farmaco orfano viene conferita in seguito a un parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP, Committee for Medicinal Products for Human Use) dell'EMA.

Nel marzo del 2016, AstraZeneca ha annunciato che inebilizumab aveva ricevuto la Designazione di farmaco orfano da parte della Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti.

[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

NOTE PER I REDATTORI

Informazioni su inebilizumab

Inebilizumab 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 aquaporina-4, prodotta in questi plasmablasti, svolgono un ruolo chiave nella patogenesi della NMO. Inebilizumab si lega direttamente alla proteina CD19 sulla superficie dei plasmablasti ed induce una loro deplezione. Inebilizumab è attualmente oggetto di valutazione nell'ambito di un trial clinico globale nella neuromielite ottica (NMO)/disturbi dello spettro della neuromielite ottica. Per maggiori informazioni, visitare clinicaltrials.gov.

Informazioni sui disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD)

Il disturbo dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) è una proposta recentemente che comprende la neuromielite ottica (NMO), nota anche come malattia di Devic, e le sindromi correlate. Il NMOSD è una malattia autoimmune neuroinfiammatoria recidivante, rara e grave, che può avere esiti mortali. Nel NMOSD, 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, disfunzioni intestinali e vescicali, e insufficienza respiratoria ed ogni attacco aggrava i danni e la disabilità. 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.

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. In Italia AZ ha in corso 91 studi clinici che coinvolgono oltre 800 centri di ricerca e oltre 19 mila pazienti (dato a dic 2016). Maggiori informazioni su: <http://www.astrazeneca.it>

Contatti Ufficio Stampa

AstraZeneca Italia – Alice Martinello T: +39 02 9801 4059

alice.martinello@astrazeneca.com

APCO Worldwide – Rossella Carrara T: +39 06 697666208 rcarrara@apcoworldwide.com

APCO Worldwide – Valentina Del Prete T: +39 06 697666202

vdelprete@apcoworldwide.com

APCO Worldwide – Eugenia Isoletti T: +39 06 697666203

eisoletti@apcoworldwide.com