

Maggio 2019

Programma di sviluppo clinico di BioMarin per valoctocogene roxaparvovec per il trattamento dell'emofilia A: aggiornamento per la comunità emofiliaca

BioMarin è lieta di fornire alla comunità un aggiornamento inerente al nostro programma di sperimentazione clinica sulla terapia genica per l'emofilia A. La terapia genica sperimentale per l'emofilia A di BioMarin non è stata approvata per l'uso ed è tuttora oggetto di sperimentazioni cliniche in corso volte a valutarne la sicurezza e l'efficacia.

Studi clinici in corso

Valoctocogene roxaparvovec, il farmaco di BioMarin precedentemente noto come BMN 270, è attualmente in fase di studio in soggetti adulti affetti da emofilia A grave. Il programma si compone di sei studi.

- Il primo studio di fase I/II è stato avviato nel 2015 consiste in un follow-up a lungo termine di 15 soggetti in seguito a trattamento con valoctocogene roxaparvovec
- Uno studio sulla sieroprevalenza globale mira a determinare la frequenza di soggetti con anticorpi pre-esistenti contro diversi sierotipi del virus adeno-associato (*adeno-associated Virus, AAV*)
- Uno studio non interventistico mira a valutare i tassi di episodi di sanguinamento e l'utilizzo dell'FVIII, nonché la qualità della vita legata alla salute, in partecipanti che ricevono un trattamento profilattico con FVIII
- Il programma di fase III comprende due studi globali (denominati GENE8-1 e GENE8-2) volti a valutare due livelli posologici di valoctocogene roxaparvovec pari rispettivamente a 6E13 e 4E13 vg/kg
 - Lo studio GENE8-1 è attualmente in corso in 12 Paesi con l'obiettivo di includere 130 partecipanti, e si prevede che raggiungerà l'arruolamento completo nel terzo trimestre del 2019
- Infine, uno studio di fase I/II volto a valutare la sicurezza di valoctocogene roxaparvovec in partecipanti con anticorpi pre-esistenti contro il sierotipo 5 dell'AAV, il vettore utilizzato in valoctocogene roxaparvovec, è aperto per l'arruolamento presso un numero limitato di centri nel Regno Unito

Il 28 maggio 2019, BioMarin ha rilasciato un aggiornamento sullo studio di fase I/II su valoctocogene roxaparvovec, includendo i risultati più recenti basati sui dati del follow-up di 3 anni dei soggetti trattati con la dose di 6E13 vg/kg. Inoltre, BioMarin ha rilasciato un aggiornamento riguardante una coorte dello studio di fase III.

Stato normativo

Valoctocogene roxaparvovec ha ottenuto la designazione di "terapia innovativa" dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense ed è stato incluso nell'iniziativa normativa PRIME dell'Agencia europea per i medicinali (EMA) per i farmaci prioritari. Valoctocogene roxaparvovec aveva precedentemente ottenuto la designazione di farmaco orfano dalla

FDA e dalla Commissione europea. Tale designazione mira a facilitare e accelerare lo sviluppo e l'analisi di nuove terapie per pazienti con condizioni gravi per i quali sussiste ancora un'esigenza insoddisfatta, consentendo loro di trarre benefici il prima possibile.

La vostra équipe medica rimane la miglior fonte di informazioni in merito agli effetti dell'emofilia A sulla salute.