

Ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ θέτει σε αξιολόγηση κατά προτεραιότητα το sutimlimab, τη δυνητικά πρώτη εγκεκριμένη θεραπεία της αιμόλυσης σε ενήλικες ασθενείς με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD)

- Το sutimlimab στοχεύει στην αντιμετώπιση της αιμόλυσης που προκαλείται από τον ενεργοποιημένο C1 παράγοντα του συμπληρώματος στη νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD)

ΠΑΡΙΣΙ – 14 Μαΐου 2020 – Ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ έθεσε σε αξιολόγηση κατά προτεραιότητα την Αίτηση για Άδεια Βιολογικού Προϊόντος (BLA) που κατέθεσε η Sanofi για το sutimlimab για τη θεραπεία της αιμόλυσης σε ενήλικες ασθενείς με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD). Το sutimlimab, ένα υπό έρευνα μονοκλωνικό αντίσωμα, στοχεύει την υποκείμενη αιτία της αιμόλυσης στη νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD), αναστέλλοντας εκλεκτικά τον C1 παράγοντα του συμπληρώματος.

Εφόσον εγκριθεί, το sutimlimab θα αποτελέσει την πρώτη και μοναδική εγκεκριμένη θεραπεία για τους συγκεκριμένους ασθενείς. Η καταληκτική ημερομηνία για την απόφαση του FDA είναι η 13^η Νοεμβρίου 2020.

Η νόσος εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD) είναι μία χρόνια αυτοάνοση αιμολυτική αναιμία, όπου το ανοσοποιητικό σύστημα επιτίθεται εσφαλμένα στα υγιή ερυθρά αιμοσφαίρια και προκαλεί την καταστροφή τους (αιμόλυση). Οι ασθενείς με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών μπορεί να εμφανίσουν χρόνια αναιμία, έντονη κόπωση, οξεία αιμολυτική κρίση και άλλες πιθανές επιπλοκές, συμπεριλαμβανομένου του αυξημένου κινδύνου εμφάνισης θρομβοεμβολικών επεισοδίων και πρώιμου θανάτου.^{1,2,3} Υπολογίζεται ότι 5.000 άτομα στις ΗΠΑ ζουν με τη συγκεκριμένη νόσο.

«Σήμερα τα άτομα που ζουν με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών δεν έχουν καμία εγκεκριμένη θεραπευτική επιλογή και εμφανίζουν χρόνια αναιμία και έντονη κόπωση, με μακροχρόνιες και σοβαρές επιπτώσεις στη ζωή τους», δήλωσε ο John Reed, M.D., Ph.D., Global Head of Research and Development της Sanofi. «Τα αποτελέσματα από την πιλοτική μελέτη Φάσης 3 διάρκειας 26 εβδομάδων που διεξήγαγε η εταιρεία μας έδειξαν ξεκάθαρα ότι το sutimlimab είχε κλινικά σημαντική επίδραση στην αιμόλυση με τη μεσολάβηση του συμπληρώματος, η οποία αποτελεί την αιτία της αναιμίας και της κόπωσης. Εάν εγκριθεί, το sutimlimab θα αποτελέσει την πρώτη και μοναδική θεραπεία που εγκρίνεται από τον Αμερικανικό Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) για τη στοχευμένη αντιμετώπιση της αιμόλυσης που προκαλείται από

τον ενεργοποιημένο C1 παράγοντα του συμπληρώματος και θα συμβάλει στη μείωση του φορτίου της χρόνιας νόσου για τα άτομα με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών».

Η κατάθεση της Αίτησης για Άδεια Βιολογικού Προϊόντος (BLA) βασίζεται σε αποτελέσματα από το μέρος A (n=24) της ανοικτής, μονού σκέλους πιλοτικής μελέτης Φάσης 3 CARDINAL σε ασθενείς με πρωτοπαθή νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών. Τα [δεδομένα παρουσιάστηκαν στη συνεδρία έκτακτων περιλήψεων](#) στο πλαίσιο του 61^{ου} Ετήσιου Συνεδρίου της Αμερικανικής Αιματολογικής Εταιρείας (ASH) και έδειξαν ότι το sutimlimab πέτυχε το πρωτεύον σύνθετο καταληκτικό σημείο αποτελεσματικότητας, που ορίζεται ως το ποσοστό των ασθενών που εμφάνισαν αύξηση από την έναρξη της μελέτης των επιπέδων αιμοσφαιρίνης ≥ 2 g/dL ή ομαλοποίηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης ≥ 12 g/dL κατά το χρονικό σημείο αξιολόγησης της θεραπείας (μέση τιμή από την 23^η, 25^η και 26^η εβδομάδα) και δεν υποβλήθηκαν σε μετάγγιση αίματος από την 5^η έως την 26^η εβδομάδα. Η μελέτη έδειξε επίσης ότι το sutimlimab πέτυχε τα δευτερεύοντα καταληκτικά σημεία καταδεικνύοντας βελτίωση στην εξέλιξη της νόσου, μέσω βελτίωσης των επιπέδων αιμοσφαιρίνης, ομαλοποίησης των επιπέδων χολερυθρίνης και βελτίωσης στην κλίμακα Λειτουργικής Αξιολόγησης της Θεραπείας Χρόνιας Νόσου – Κόπωσης (FACIT-F).

Στοχεύοντας τον παράγοντα C1s της κλασικής οδού του συμπληρώματος

Το sutimlimab έχει σχεδιαστεί για να στοχεύει εκλεκτικά και να αναστέλλει τον παράγοντα C1s της κλασικής οδού του συμπληρώματος, που αποτελεί τμήμα του ενδογενούς ανοσοποιητικού συστήματος. Αναστέλλοντας τον παράγοντα C1s, θεωρείται ότι το sutimlimab εμποδίζει την αιμόλυση που προκαλείται από τον ενεργοποιημένο C1 παράγοντα του συμπληρώματος στη νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών. Η αναστολή της κλασικής οδού του συμπληρώματος στο κλάσμα C1s έχει ως στόχο τη διατήρηση λειτουργικής ανοσοεπιτήρησης της εναλλακτικής οδού του συμπληρώματος ή οδού της λεκτίνης.

Η Sanofi αξιολογεί το sutimlimab στη συνεχιζόμενη μελέτη Φάσης 3 CADENZA για ασθενείς με νόσο εκ ψυχροσυγκολλητινών (CAD) οι οποίοι δεν υποβλήθηκαν πρόσφατα σε μετάγγιση αίματος και ξεχωριστά, ερευνά το sutimlimab για ασθενείς με αυτοάνοση θρομβοπενική πορφύρα. Το sutimlimab έχει λάβει χαρακτηρισμό ως Καινοτόμος Θεραπεία [Breakthrough Therapy] και ως ορφανό φάρμακο από τον Αμερικανικό Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA). Επί του παρόντος, το sutimlimab βρίσκεται υπό κλινική ανάπτυξη και η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητά του δεν έχουν αξιολογηθεί από καμία ρυθμιστική αρχή.

Σχετικά με τη Sanofi

Η Sanofi έχει αφοσιωθεί στην υποστήριξη των ανθρώπων για την αντιμετώπιση των προκλήσεων υγείας. Είμαστε μια παγκόσμια βιοφαρμακευτική εταιρεία που εστιάζει στην ανθρώπινη υγεία. Προλαμβάνουμε τις ασθένειες με εμβόλια και προσφέρουμε καινοτόμες θεραπείες οι οποίες αμβλύνουν τον πόνο και βελτιώνουν τη διαχείριση της εκάστοτε νόσου. Στεκόμαστε δίπλα τόσο στους λίγους που πάσχουν από σπάνιες παθήσεις, όσο και στα εκατομμύρια ανθρώπων που ζουν με χρόνιες παθήσεις ανά την υφήλιο. Με περισσότερους από 100.000 εργαζομένους σε 100 χώρες, η Sanofi μετατρέπεται την επιστημονική καινοτομία σε λύσεις υγείας σε ολόκληρο τον κόσμο.

Sanofi, Empowering Life, Ενδυναμώνοντας τη Ζωή

www.sanofi.com
www.sanofi.gr

**Τμήμα Επικοινωνίας
Sanofi Ελλάδας**

Χριστίνα Βεΐοπούλου
Τηλ: 210 9001600
info.greece@sanofi.com