

Η Sanofi ανακοινώνει θετικά μακροχρόνια αποτελέσματα αποτελεσματικότητας και ασφάλειας για το fitusiran, βάσει ενδιάμεσης ανάλυσης της μελέτης επέκτασης Φάσης 2 σε άτομα με αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς

- Το fitusiran, μία υπό ανάπτυξη νέα RNAi θεραπεία, μπορεί δυνητικά να μετασχηματίσει τη θεραπευτική αντιμετώπιση της αιμορροφιλίας με μία μηνιαία υποδόρια χορήγηση σε άτομα με αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς.
- Μακροχρόνια ερευνητικά δεδομένα δείχνουν ότι η προφυλακτική θεραπεία με fitusiran εξασφαλίζει μία σταθερή μείωση του ετήσιου ποσοστού αιμορραγίας στους ασθενείς με μέτρια έως σοβαρή αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς.

Παρίσι – 19 Ιουνίου 2020 – Νέα δεδομένα σχετικά με την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του fitusiran, ενός υπό έρευνα θεραπευτικού παράγοντα παρεμβολής RNA (RNAi) χορηγούμενου υποδορίως άπαξ μηνιαίως, για τη θεραπεία της αιμορροφιλίας A και B, με ή χωρίς αναστολείς, ανακοινώθηκαν σε μια έκτακτη ανακοίνωση στο πλαίσιο της διαδικτυακής συνόδου της Παγκόσμιας Ομοσπονδίας Αιμορροφιλίας (World Federation of Hemophilia).

Μακροχρόνια ενδιάμεσα αποτελέσματα από την ανοικτή μελέτη επέκτασης Φάσης 2 υποστηρίζουν τη δυνατότητα του fitusiran να αποκαθιστά την αιμοστατική ισορροπία και να μειώνει το ετήσιο ποσοστό αιμορραγίας (ABR) σε χρονικό διάστημα έως και 57 μηνών.

«Αυτά τα νέα ενδιάμεσα αποτελέσματα υποστηρίζουν τη δυνατότητα του fitusiran να τροποποιήσει τη θεραπευτική αντιμετώπιση της αιμορροφιλίας, με στόχο να προσφέρει στους ασθενείς σταθερή προστασία από αιμορραγίες με μόλις μία μηνιαία υποδόρια χορήγηση», δήλωσε ο Dietmar Berger, Global Head of Development της Sanofi. «Συνεχίζουμε να αναβαθμίζουμε το χαρτοφυλάκιό μας με θεραπείες με παράγοντα και χωρίς παράγοντα, οι οποίες θα είναι σε θέση να παρέχουν στα άτομα με αιμορροφιλία ένα ευρύ φάσμα θεραπευτικών επιλογών που να ταιριάζουν στις εξατομικευμένες ανάγκες τους. Συνεχίζουμε να ερευνούμε το κλινικό προφίλ του fitusiran στο πλαίσιο του προγράμματος Φάσης 3 ATLAS, με αναμενόμενα αποτελέσματα το πρώτο εξάμηνο του 2021, ανυπομονώντας να προσφέρουμε αυτήν την καινοτόμο θεραπεία σε ασθενείς παγκοσμίως.

Η ανοικτή μελέτη επέκτασης Φάσης 2

Η ανοικτή μελέτη επέκτασης Φάσης 2 αξιολογεί τη μακροχρόνια αποτελεσματικότητα και ασφάλεια του fitusiran σε ασθενείς με μέτρια ή σοβαρή αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς, οι οποίοι είχαν συμμετάσχει σε προηγούμενη μελέτη του fitusiran. Τα συγκεκριμένα δεδομένα αξιολόγησαν 34 συμμετέχοντες ασθενείς, οι οποίοι λάμβαναν

μηνιαίες σταθερές δόσεις 50 mg ή 80 mg fitusiran και παρακολουθούνταν για χρονικό διάστημα έως και 4,7 ετών, με διάμεση έκθεση 2,6 ετών. Κατά την ημερομηνία αποκοπής δεδομένων (10 Μαρτίου, 2020), τα ενδιαμέσα αποτελέσματα ήταν τα εξής:

- Η άπαξ μηνιαίως υποδόρια χορήγηση του fitusiran σε ασθενείς με αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς, κατέδειξε σταθερή μείωση της αντιθρομβίνης (μείωση κατά περίπου 75% από την έναρξη), γεγονός που οδήγησε σε διάμεσες ανώτατες τιμές θρομβίνης που παρέμειναν στο κατώτερο άκρο του εύρους τιμών που παρατηρήθηκε σε υγιείς εθελοντές.
- Χαμηλό συνολικό διάμεσο ετήσιο ποσοστό αιμορραγίας (ABR) με τιμή 0,84. Η μέση τιμή ABR στην υποομάδα χωρίς αναστολείς ήταν 1,01, σε σύγκριση με μέση τιμή ABR προ μελέτης 2 σε ασθενείς που έλαβαν προηγουμένως προφυλακτική θεραπεία, και 12,0 σε ασθενείς που έλαβαν προηγουμένως θεραπεία κατ'επίκληση. Στην υποομάδα αναστολέων, η μέση τιμή ABRs ήταν 0,44, σε σύγκριση με μέση τιμή ABRs προ μελέτης 42,0.
- Χαμηλή συνολική τιμή αυθόρμητων αιμορραγιών (με συνολική μέση τιμή 0,38). Η μέση τιμή αυθόρμητων ABRs ανά υποομάδα ήταν 0,33 (χωρίς αναστολείς) και 0,39 (με αναστολείς).
- Δεν ανιχνεύθηκε σχηματισμός αντισωμάτων έναντι του φαρμάκου.

Κατά την αποκοπή των δεδομένων στις 10 Μαρτίου 2020, η θεραπεία με fitusiran ήταν γενικώς καλά ανεκτή. Οι αναφερόμενες σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες με το fitusiran περιελάμβαναν ένα συμβάν κολπικής θρόμβωσης κι ένα συμβάν αυξημένων τιμών ηπατικών τρανσαμινασών. Καταγράφηκε ένας θάνατος στο πλαίσιο της μελέτης το 2017, λόγω θρόμβωσης των φλεβωδών κόλπων του εγκεφάλου, η οποία είχε αρχικά διαγνωστεί ως υπαραχνοειδής αιμορραγία. Κατόπιν τούτου αναθεωρήθηκαν οι κατευθυντήριες οδηγίες διαχείρισης αιμορραγίας τον Δεκέμβριο του 2017. Οι πιο συχνά αναφερόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες (≥5 ασθενείς) περιελάμβαναν αύξηση των τιμών της αμινοτρανσφεράσης της αλανίνης (29%), πονοκέφαλο (27%), ερύθημα στο σημείο έγχυσης (21%), ρινοφαρυγγίτιδα (21%), λοίμωξη του ανώτερου αναπνευστικού (18%), διάρροια (18%), αρθραλγία (18%), πόνο στην πλάτη (18%) και αύξηση των τιμών των τρανσαμινασών (15%).

Μια καινοτόμος ερευνητική προσέγγιση για την αιμορροφιλία A και B

Η αιμορροφιλία A και B χαρακτηρίζεται από διαταραχή της ισορροπίας της αιμόστασης, λόγω ανεπάρκειας των παραγόντων VIII και IX αντίστοιχα, γεγονός που οδηγεί σε ανεπαρκή παραγωγή θρομβίνης. Στόχος όλων των θεραπειών για την αιμορροφιλία είναι η αποκατάσταση της αιμοστατικής ισορροπίας και η βελτίωση της παραγωγής θρομβίνης.

Το fitusiran είναι ένας υπό έρευνα θεραπευτικός παράγοντας παρεμβολής RNA χορηγούμενος υποδορίως άπαξ μηνιαίως, ο οποίος αναπτύσσεται για τη θεραπεία των ατόμων με αιμορροφιλία A και B, με ή χωρίς αναστολείς. Το fitusiran έχει σχεδιαστεί να στοχεύει την αντιθρομβίνη, μία πρωτεΐνη που αναστέλλει την πήξη του αίματος, με στόχο την προώθηση επαρκούς παραγωγής θρομβίνης, ώστε να αποκαθίσταται η φυσιολογική ισορροπία της αιμόστασης και να προλαμβάνονται οι αιμορραγίες. Το fitusiran χρησιμοποιεί την τεχνολογία σύζευξης ESC-GalNAc της Alnylam, που επιτρέπει την υποδόρια χορήγηση με ενισχυμένη δραστηριότητα και διάρκεια. Επί του παρόντος, το fitusiran βρίσκεται υπό κλινική διερεύνηση και δεν έχει 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 μετατρέπει 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 Βεϊοπούλου

Τηλ: 210 9001600

info.greece@sanofi.com