

## Ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ εγκρίνει το carlacizumab-yhdp, το πρώτο φάρμακο που βασίζεται σε νανόσωμα, για ενήλικες με επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP)

- \* Το πρώτο φάρμακο που εγκρίνεται στις ΗΠΑ ειδικά για τη θεραπεία της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP), μίας σπάνιας διαταραχής πήξης του αίματος
- \* Το carlacizumab-yhdp αποτελεί την πρώτη έγκριση στις ΗΠΑ για το νέο τμήμα σπάνιων αιματολογικών παθήσεων της Sanofi

**ΠΑΡΙΣΙ – 6 Φεβρουαρίου, 2019** – Ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ ενέκρινε το carlacizumab-yhdp σε συνδυασμό με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή για τη θεραπεία της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP) σε ενήλικες. Το carlacizumab-yhdp είναι η πρώτη θεραπεία που εγκρίνεται από τον FDA η οποία ενδείκνυται ειδικά για τη θεραπεία της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP).

*“Η έγκριση του carlacizumab-yhdp στις ΗΠΑ προσφέρει μία απολύτως αναγκαία θεραπευτική επιλογή για τα άτομα που αντιμετωπίζουν αυτή την προκλητική νόσο. Υπήρχαν περιορισμένα διαθέσιμα φάρμακα για τη θεραπεία της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας μέχρι σήμερα,”* δήλωσε ο Olivier Brandicourt, M.D., Chief Executive Officer της Sanofi. *“Το carlacizumab-yhdp σηματοδοτεί την πρώτη έγκριση στις ΗΠΑ για τον νεοσύστατο τομέα σπάνιων αιματολογικών παθήσεων της εταιρείας μας και προσβλέπουμε με ανυπομονησία να συνεχίσουμε να προσφέρουμε σημαντικά φάρμακα σε άτομα που ζουν με αυτές τις πολύ σοβαρές παθήσεις.”*

Το carlacizumab-yhdp στοχεύει τον παράγοντα von Willebrand (vWF), μία πρωτεΐνη στο αίμα που εμπλέκεται στην αιμόσταση. Είναι σχεδιασμένο να αναστέλει την αλληλεπίδραση μεταξύ του παράγοντα vWF και των αιμοπεταλίων. Το carlacizumab-yhdp είναι ένα νανόσωμα αντισώματος του παράγοντα vWF και το πρώτο φάρμακο που βασίζεται σε νανόσωμα [Nanobody]<sup>®</sup> της Sanofi το οποίο λαμβάνει έγκριση στις ΗΠΑ. Τα νανοσώματα<sup>®</sup> αποτελούν μία νέα κατηγορία αποκλειστικών θεραπευτικών πρωτεϊνών με βάση τις περιοχές πρόσδεσης των αντισωμάτων [single-domain antibody fragments] που περιέχουν τις μοναδικές δομικές και λειτουργικές ιδιότητες των φυσικών αντισωμάτων βαριάς αλυσίδας.

Το carlacizumab-yhdp εντάχθηκε στο πρόγραμμα ταχείας αξιολόγησης του FDA και αξιολογήθηκε κατά προτεραιότητα, διαδικασία που εφαρμόζεται αποκλειστικά για φάρμακα που αντιπροσωπεύουν σημαντική βελτίωση της ασφάλειας ή της αποτελεσματικότητας για τη θεραπεία σοβαρών παθήσεων.

**Μία ακάλυπτη ανάγκη σε μία σπάνια αιματολογική πάθηση**

Η επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP) αποτελεί μία σπάνια, απειλητική για τη ζωή αυτοάνοση αιματολογική διαταραχή. Η επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP) θεωρείται ένα επείγον ιατρικό περιστατικό. Για κάποιους ασθενείς, ενδέχεται να απαιτείται η λήψη μέτρων ανάνηψης και η άμεση έκβαση μπορεί να μην είναι προβλέψιμη. Στις περισσότερες περιπτώσεις, οι ασθενείς συνήθως νοσηλεύονται σε μονάδες εντατικής θεραπείας στη διάρκεια των πρώτων ημερών μετά τη διάγνωση της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP). Υπολογίζεται ότι έως και το 20% των ασθενών καταλήγουν λόγω επεισοδίων θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας, παρά τις σύγχρονες διαθέσιμες θεραπείες (πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή), με τους περισσότερους θανάτους να συμβαίνουν σε διάστημα 30 ημερών μετά τη διάγνωση. Στις ΗΠΑ, η επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα επηρεάζει λιγότερους από 2.000 ενήλικες κάθε χρόνο.

*“Η επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP) αποτελεί μία πολύ σοβαρή, απειλητική για τη ζωή νόσο. Για τα άτομα που έρχονται αντιμέτωπα με αυτή τη σπάνια διάγνωση, η θεραπεία και η φροντίδα είναι δύσκολες και η απειλή της υποτροπής είναι πανταχού παρούσα”* δήλωσε ο Spero R. Cataland, M.D., Καθηγητής Παθολογίας, Τμήμα Αιματολογίας, Ιατρικό Κέντρο Wexner του Πανεπιστημίου της Πολιτείας του Οχάιο. *“Το caplacizumab-yhdp προσφέρει νέα ελπίδα στους ενήλικες στις ΗΠΑ που πάσχουν από επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα και παρέχει μία απολύτως αναγκαία θεραπευτική επιλογή που συμβάλλει στην αποτελεσματική διαχείριση των επεισοδίων της νόσου.”*

Στην επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP), η συσσώρευση υπερμεγεθών πολυμερών του παράγοντα vWF προκαλεί εκτεταμένο σχηματισμό θρόμβων σε μικρά αιμοφόρα αγγεία σε ολόκληρο το σώμα, οδηγώντας σε σοβαρή θρομβοπενία (πολύ χαμηλός αριθμός αιμοπεταλίων), μικροαγγειοπαθητική αιμολυτική αναιμία (απώλεια ερυθρών αιμοσφαιρίων μέσω καταστροφής) και ισχαιμία (ελαττωμένη αιμάτωση σε διάφορα μέρη του σώματος).

### **Κλινικό πρόγραμμα του caplacizumab-yhdp και αποτελέσματα**

Η έγκριση του caplacizumab-yhdp στις ΗΠΑ βασίζεται στα αποτελέσματα της πιλοτικής πολυκεντρικής, τυχαιοποιημένης, διπλά τυφλής, ελεγχόμενης με εικονικό φάρμακο μελέτης Φάσης 3, που είναι γνωστή ως HERCULES. Η μελέτη αξιολόγησε την αποτελεσματικότητα του caplacizumab-yhdp σε συνδυασμό με πλασμαφαίρεση και ανοσοκατασταλτική θεραπεία (n=72) έναντι εικονικού φαρμάκου, πλασμαφαίρεσης και ανοσοκατασταλτικής θεραπείας (n=73) σε 145 ενήλικες που εμφάνισαν ένα επεισόδιο επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP).

Στη μελέτη HERCULES, η θεραπεία με caplacizumab-yhdp σε συνδυασμό με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή οδήγησε σε σημαντική μείωση του χρόνου απόκρισης του αριθμού αιμοπεταλίων σε σύγκριση με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή (Αναλογία Κινδύνου 1,55 [1,10· 2,20] p=0,01), το πρωτεύον καταληκτικό σημείο αποτελεσματικότητας της μελέτης. Όσον αφορά στα δευτερεύοντα καταληκτικά σημεία, το caplacizumab-yhdp έδειξε σημαντική μείωση του σύνθετου καταληκτικού σημείου του ποσοστού ασθενών που εμφάνισαν θάνατο σχετιζόμενο με επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP), υποτροπή της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP), ή ένα σημαντικό θρομβοεμβολικό επεισόδιο στη διάρκεια της θεραπείας με το φάρμακο της μελέτης σε σύγκριση με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή (12,7% έναντι 49,3%· p <0,0001), καθώς και ένα σημαντικά χαμηλότερο

ποσοστό υποτροπών της επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP) στη συνολική περίοδο της μελέτης σε σύγκριση με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή (13% έναντι 38%·  $p < 0,001$ ). Τα αποτελέσματα της μελέτης δημοσιεύτηκαν στο ιατρικό περιοδικό *New England Journal of Medicine* τον [Ιανουάριο του 2019](#).

Στις μελέτες HERCULES και TITAN (Φάσης 2), οι πιο συχνά αναφερόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν επίσταξη (αιμορραγία από τη μύτη) 29%, κεφαλαλγία 21% και αιμορραγία των ούλων 16%. Στη ομάδα θεραπείας με εικονικό φάρμακο, αναφέρθηκαν δύο θάνατοι στη μελέτη TITAN και τρεις θάνατοι στη μελέτη HERCULES. Δεν σημειώθηκε θάνατος στη διάρκεια της θεραπείας με το φάρμακο της μελέτης στην ομάδα θεραπείας με caplacizumab-yhdp στις μελέτες TITAN και HERCULES. Ωστόσο, αναφέρθηκε ένας θάνατος στη μελέτη HERCULES κατά την περίοδο παρακολούθησης μετά τη διακοπή της θεραπείας, ο οποίος προσδιορίστηκε ως μη σχετιζόμενος με τη θεραπεία με caplacizumab-yhdp.

### **Σχετικά με το caplacizumab-yhdp**

Το caplacizumab-yhdp πρέπει να χορηγείται κατά την έναρξη θεραπείας πλασμαφαίρεσης, μετά από διάγνωση επίκτητης θρομβωτικής θρομβοπενικής πορφύρας (aTTP). Το caplacizumab-yhdp χορηγείται αρχικά ως ενδοφλέβια ένεση 11 mg πριν την πλασμαφαίρεση, και ακολουθείται από μία υποδόρια ένεση 11 mg μετά την ολοκλήρωση της πλασμαφαίρεσης την πρώτη ημέρα. Κατά την περίοδο της ημερήσιας πλασμαφαίρεσης και για διάστημα 30 ημερών μετά την περίοδο ημερήσιας πλασμαφαίρεσης, οι ασθενείς θα λαμβάνουν υποδόρια ένεση 11 mg. Αν μετά την αρχική θεραπεία εμμένουν τα συμπτώματα της υποκείμενης νόσου, η θεραπεία είναι δυνατό να παραταθεί για μέγιστο διάστημα 28 ημερών. Η υποδόρια ένεση είναι δυνατό να χορηγείται από έναν ασθενή/φροντιστή κατόπιν κατάλληλης εκπαίδευσης.

Το caplacizumab-yhdp αναπτύχθηκε από την Ablynx, η οποία αποκτήθηκε από τη Sanofi το 2018. Το caplacizumab-yhdp εγκρίθηκε στην Ευρωπαϊκή Ένωση τον Αύγουστο του 2018. Το caplacizumab-yhdp ανήκει στον τομέα σπάνιων αιματολογικών παθήσεων της εταιρείας ο οποίος εντάσσεται στη Sanofi Genzyme, την παγκόσμια επιχειρησιακή μονάδα ειδικής φροντίδας της Sanofi.

Για τις πλήρεις πληροφορίες συνταγογράφησης, επισκεφθείτε το [www.cablivi.com](http://www.cablivi.com).

## 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 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](http://www.sanofi.com)

[www.sanofi.gr](http://www.sanofi.gr)

## Τμήμα Επικοινωνίας

### Sanofi Ελλάδα

Χριστίνα Βεϊοπούλου

Τηλ: 210 9001600

[info.greece@sanofi.com](mailto:info.greece@sanofi.com)