

To *New England Journal of Medicine* δημοσιεύει θετικά αποτελέσματα της πιλοτικής μελέτης του carlacizumab για μία σπάνια διαταραχή πήξης του αίματος

- * Η κλινική μελέτη Φάσης 3 HERCULES πέτυχε το πρωτεύον καταληκτικό σημείο, καταδεικνύοντας ότι η θεραπεία με carlacizumab οδήγησε σε σημαντικά μειωμένο χρόνο ανταπόκρισης του αριθμού των αιμοπεταλίων σε ασθενείς με επίκτητη θρομβωτική θρομβοπενική πορφύρα (aTTP), όταν χορηγήθηκε σε συνδυασμό με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή
- * Το carlacizumab συσχετίστηκε με σημαντική μείωση του ποσοστού θανάτου σχετιζόμενου με την aTTP, επανεμφάνισης ή τουλάχιστον ενός σημαντικού θρομβοεμβολικού επεισοδίου στη διάρκεια της θεραπείας των ασθενών με το φάρμακο, που αποτελεί το πρώτο βασικό δευτερεύον καταληκτικό σημείο της μελέτης
- * Το carlacizumab έλαβε έγκριση από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή τον Αύγουστο του 2018

ΠΑΡΙΣΙ – 9 Ιανουαρίου, 2019 – Το ιατρικό περιοδικό *New England Journal of Medicine (NEJM)* δημοσίευσε θετικά αποτελέσματα της κλινικής μελέτης Φάσης 3 του carlacizumab σε ενήλικες με aTTP.

Η aTTP αποτελεί μία σπάνια, απειλητική για τη ζωή αυτοάνοση αιματολογική διαταραχή, η οποία χαρακτηρίζεται από 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 λόγω καταστροφής), ισχαιμία (περιορισμένη αιμάτωση σε διάφορα μέρη του σώματος) και εκτεταμένη βλάβη οργάνων, ιδιαίτερα στον εγκέφαλο και την καρδιά.

Η σύγχρονη θεραπεία για την aTTP περιλαμβάνει ημερήσια πλασμαφαίρεση, κατά την οποία το πλάσμα του αίματος του ασθενούς απομακρύνεται και αντικαθίσταται από πλάσμα που προέρχεται από δότες, καθώς και ανοσοκαταστολή. Ακόμα και με τις σύγχρονες διαθέσιμες θεραπείες, οι ασθενείς συνεχίζουν να διατρέχουν κίνδυνο εμφάνισης οξείων διαταραχών πήξης του αίματος, όπως είναι το εγκεφαλικό επεισόδιο και η καρδιακή προσβολή, καθώς και επανεμφάνισης της νόσου.

Τα βασικά ευρήματα της μελέτης Φάσης 3 HERCULES του carlacizumab περιλαμβάνουν:

- Όσον αφορά στο πρωτεύον καταληκτικό σημείο, το carlacizumab μείωσε σημαντικά τον χρόνο αποκατάστασης του αριθμού αιμοπεταλίων στα φυσιολογικά επίπεδα ($p=0,01$). Σε οποιοδήποτε δεδομένο χρονικό σημείο κατά τη διάρκεια της μελέτης, οι ασθενείς που έλαβαν carlacizumab είχαν 1,55 φορές περισσότερες πιθανότητες να πετύχουν αριθμό αιμοπεταλίων εντός του φυσιολογικού εύρους σε σύγκριση με τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

- Η θεραπεία με carlacizumab συσχετίστηκε με μείωση κατά 74% του ποσοστού θανάτου σχετιζόμενου με την aTTP, επανεμφάνισης της aTTP, ή τουλάχιστον ενός σημαντικού θρομβοεμβολικού επεισοδίου σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο ($p < 0,001$).
- Στη συνολική περίοδο της μελέτης, οι ασθενείς που έλαβαν carlacizumab εμφάνισαν σημαντικά μικρότερο αριθμό υποτροπών της aTTP (μείωση κατά 67%) σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο ($p < 0,001$).
- Ανθεκτική στη θεραπεία νόσο, εμφάνισαν 0 ασθενείς στην ομάδα ασθενών που έλαβαν carlacizumab έναντι 3 ασθενών στην ομάδα που έλαβε εικονικό φάρμακο, αν και η διαφορά δεν υπήρξε στατιστικά σημαντική ($p = 0,06$).
- Η αποκατάσταση των φυσιολογικών ορίων σε τρεις δείκτες βλάβης οργάνων (γαλακτική αφυδρογονάση, καρδιακή τροπονίνη I και κρεατινίνη ορού) εμφανίστηκε συντομότερα στους ασθενείς που έλαβαν carlacizumab έναντι του εικονικού φαρμάκου (δεν ελέγχθηκε η τιμή p για σημαντικότητα λόγω ιεραρχικής στατιστικής δοκιμασίας).
- Τα αποτελέσματα έδειξαν κλινικά σημαντική μείωση στη χρήση πλασμαφαίρεσης στους ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με carlacizumab (ο μέσος όρος ημερών πλασμαφαίρεσης ήταν 5,8· μείωση κατά 38%) σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο (9,4 ημέρες), καθώς και μείωση του διαστήματος παραμονής σε μονάδα εντατικής θεραπείας (μείωση κατά 65%) και του χρόνου νοσηλείας (μείωση κατά 31%).

Το carlacizumab επέδειξε προφίλ ασφάλειας συμβατό με ό,τι είχε αναφερθεί παλαιότερα και σύμφωνα με το μηχανισμό δράσης του· στο πλαίσιο αυτό περιλαμβανόταν ο αυξημένος κίνδυνος αιμορραγίας. Οι πιο συχνά αναφερόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονταν με αιμορραγία ήταν η επίσταξη και η αιμορραγία των ούλων.

“Η aTTP αποτελεί μία απειλητική για τη ζωή νόσο και οι σύγχρονες θεραπευτικές επιλογές δεν αναστέλλουν πλήρως τον εκτεταμένο σχηματισμό θρόμβων σε μικρά αιμοφόρα αγγεία σε ολόκληρο το σώμα, με τους ασθενείς να εξακολουθούν να διατρέχουν κίνδυνο υψηλής νοσηρότητας και πρόωρου θανάτου,” δήλωσε η Marie Scully, M.D, καθηγήτρια αιματολογίας στο Πανεπιστημιακό Κολεγιακό Νοσοκομείο του Λονδίνου (UCLH) και κύρια συγγραφέας της μελέτης HERCULES. *“Αυτά τα αποτελέσματα δείχνουν ότι το carlacizumab έχει τη δυναμική να καλύψει μία σημαντική ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη και να βοηθήσει τους ασθενείς που βρίσκονται αντιμέτωποι με τις δυνητικά καταστροφικές επιπτώσεις της συγκεκριμένης διαταραχής.”*

Η μελέτη HERCULES είναι μία Φάσης 3 τυχαιοποιημένη, διπλή, τυφλή, ελεγχόμενη με εικονικό φάρμακο μελέτη του carlacizumab σε ασθενείς με aTTP. Στη μελέτη, 145 ασθενείς τυχαιοποιήθηκαν σε λήψη είτε carlacizumab είτε εικονικού φαρμάκου, σε συνδυασμό με πλασμαφαίρεση και ανοσοκαταστολή.

Σχετικά με το carlacizumab

Το carlacizumab είναι ένα Νανόσωμα που στοχεύει τον παράγοντα von Willebrand (vWF), το οποίο αναστέλλει την αλληλεπίδραση ανάμεσα στα πολύ μεγάλα πολυμερή του παράγοντα von Willebrand και στα αιμοπετάλια και, με αυτό τον τρόπο, εμποδίζει τον σχηματισμό και τη συσσώρευση των μικροθρόμβων που προκαλούν τη θρομβοπενία, την ισχαιμία των ιστών και την οργανική ανεπάρκεια στην aTTP. Το carlacizumab αναπτύχθηκε από την Ablynx, μία εταιρεία του ομίλου Sanofi.

Το carlacizumab έλαβε έγκριση από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή τον Αύγουστο του 2018 για τη θεραπεία ενηλίκων που εμφανίζουν ένα επεισόδιο aTTP. Αποτελεί τον πρώτο θεραπευτικό παράγοντα που ενδείκνυται ειδικά για τη θεραπεία της aTTP.

Επιπλέον, ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ έχει κάνει αποδεκτή προς εξέταση κατά προτεραιότητα την αίτηση για Άδεια Βιολογικού Προϊόντος (BLA) για το carlacizumab για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 18 ετών και άνω που εμφανίζουν ένα επεισόδιο aTTP. Η καταληκτική ημερομηνία για την ανακοίνωση της απόφασης του Οργανισμού Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) είναι η 6^η Φεβρουαρίου, 2019.

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

www.sanofi.gr

Τμήμα Επικοινωνίας

Sanofi Ελλάδα

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