

ATASSIA DI FRIEDREICH: IL CHMP HA ESPRESSO PARERE POSITIVO PER OMAVELOXOLONE DI BIOGEN, PRIMA TERAPIA PER IL TRATTAMENTO DI QUESTA MALATTIA NEURODEGENERATIVA RARA

- **L'Atassia di Friedreich è una malattia neuromuscolare genetica, debilitante e con aspettativa di vita limitata¹**
- **Il parere positivo espresso dal CHMP testimonia l'impegno di Biogen nel dare risposta ai bisogni ancora insoddisfatti delle persone con patologie neuromuscolari e rappresenta un importante ampliamento nel portfolio dell'azienda nel campo delle malattie rare**

Milano, 15 dicembre 2023 – Biogen ha annunciato che il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha espresso parere positivo per l'autorizzazione all'immissione in commercio di omaveloxolone per il trattamento dell'Atassia di Friedreich (FA) a partire dai 16 anni di età. Se otterrà l'approvazione dalla Commissione Europea (CE), omaveloxolone sarà il primo trattamento autorizzato all'interno dell'Unione Europea per questa rara malattia neuromuscolare genetica e progressiva¹.

"La raccomandazione del CHMP per omaveloxolone rappresenta un traguardo di fondamentale importanza che ci avvicina al nostro obiettivo: mettere a disposizione della comunità di pazienti europei un trattamento che rallenti la progressione dell'Atassia di Friedreich", dichiara Matteo Papi, Direttore Medico di Biogen Italia. "Se omaveloxolone verrà approvato, siamo pronti a mettere in campo tutta l'esperienza e il know-how di Biogen nel campo delle malattie rare per portare questo trattamento innovativo alle persone che in Unione Europea convivono con questa malattia debilitante".

Il parere positivo del CHMP per omaveloxolone si basa sui dati di efficacia e sicurezza raccolti nello studio controllato con placebo MOX1e parte 2. Al termine di questo studio, durato 48 settimane, i partecipanti trattati con omaveloxolone presentavano un deterioramento fisico minore rispetto a coloro che avevano ricevuto il placebo. La differenza è stata misurata in base alla scala di valutazione dell'Atassia di Friedreich modificata (modified Friedreich Ataxia Rating Scale o mFARS). Nelle persone trattate con omaveloxolone, rispetto al gruppo placebo, sono stati osservati anche miglioramenti rispetto ad alcuni parametri dei domini della mFARS, tra cui stabilità in posizione eretta, coordinazione degli arti inferiori, capacità di deglutire e coordinazione degli arti superiori. Ulteriori dati provengono da un'analisi post-hoc e propensity-matched, in cui i pazienti trattati con omaveloxolone e arruolati nello studio MOX1e (parte 1 e 2) hanno registrato un punteggio mFARS più basso a 3 anni confrontati ad una corrispettiva coorte di storia naturale. Gli effetti collaterali più comuni sono: aumento degli enzimi epatici, diminuzione del peso e dell'appetito, nausea, vomito, diarrea, cefalea, affaticamento, dolore orofaringeo e dorsale, spasmi muscolari e influenza.

La raccomandazione del CHMP per omaveloxolone sarà ora esaminata dalla CE per l'autorizzazione all'immissione in commercio nell'Unione Europea: la decisione finale è prevista per il primo trimestre del 2024. A febbraio 2023 la Food and Drug Administration (FDA) statunitense ha approvato omaveloxolone per il trattamento dell'Atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti a partire dai 16 anni di età.

Informazioni su omaveloxolone

Omaveloxolone è un trattamento da assumere una volta al giorno per via orale ed è indicato per il trattamento dell'Atassia di Friedreich (FA) negli adulti e negli adolescenti a partire dai 16 anni di età. Negli Stati Uniti omaveloxolone è stato classificato come farmaco orfano e ha ottenuto la designazione Fast Track e quella di trattamento per malattie pediatriche rare da parte della Food and Drug Administration. Anche la Commissione Europea ha concesso la designazione di farmaco orfano in Europa a omaveloxolone per il trattamento dell'Atassia di Friedreich.

Informazioni sull'Atassia di Friedreich

L'Atassia di Friedreich (FA) è una malattia neuromuscolare rara, genetica, debilitante e degenerativa con prognosi di vita limitata. Si tratta della forma più comune di atassia ereditaria.^{2,3} I primi sintomi della FA, come la progressiva perdita di coordinazione, la debolezza muscolare e l'affaticamento, compaiono in genere durante l'infanzia e possono presentarsi in comorbilità con sintomi dovuti ad altre malattie.⁴ La maggior parte delle persone con FA è costretta all'utilizzo di una sedia a rotelle entro 10-20 anni dalla comparsa dei primi sintomi.² L'età media di decesso in presenza di FA è di soli 37 anni, anche se, con cure appropriate e mirate, le persone possono vivere molti anni seppur con mobilità limitata.⁵⁻⁷

Informazioni su Biogen

Fondata nel 1978, Biogen è una delle prime aziende globali nel campo delle biotecnologie, pioniera di numerose scoperte che hanno rivoluzionato questo settore, tra cui un portfolio ampio e diversificato di terapie per il trattamento della Sclerosi Multipla, il primo farmaco approvato per il trattamento dell'Atrofia Muscolare Spinale (SMA) e due trattamenti sviluppati in partnership per agire su un meccanismo patologico caratterizzante la malattia di Alzheimer. Tra le sue più recenti innovazioni, Biogen conta anche il primo trattamento mirato a una forma genetica di Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA), la prima terapia orale approvata negli Stati Uniti per la Depressione Post Partum e il primo trattamento per l'Atassia di Friedreich, già approvato negli USA. Biogen continua a espandere la propria pipeline con potenziali nuove terapie nei settori della neurologia, della neuropsichiatria, dell'immunologia specialistica e delle malattie rare, rimanendo concentrata sull'obiettivo di costruire un mondo più sano, sostenibile ed equo, dove la scienza sia al servizio dell'umanità.

Dichiarazione cautelativa

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali sui potenziali benefici, sulla sicurezza e sull'efficacia dell'omaveloxolone; sulle potenziali discussioni, presentazioni e approvazioni a livello normativo e sulle relative tempistiche; sul trattamento dell'Atassia di Friedreich; sul potenziale dell'attività commerciale di Biogen e sui programmi in cantiere, compresa l'Atassia di Friedreich; sui rischi e le incertezze associati allo sviluppo e alla commercializzazione dei farmaci. Queste affermazioni possono essere identificate da parole come "mirare", "anticipare", "credere", "potrebbe", "stimare", "aspettarsi", "prevedere", "intendere", "potrebbe", "pianificare", "possibile", "potenziale", "sarà", "sarebbe" e altre parole e termini di significato simile. Lo sviluppo e la commercializzazione dei farmaci comportano un elevato grado di rischio e solo un numero esiguo di programmi di ricerca e sviluppo porta alla commercializzazione di un prodotto. I risultati degli studi clinici iniziali possono non essere indicativi dei risultati completi o dei risultati di studi clinici successivi o su scala più ampia e non garantiscono l'approvazione da parte delle autorità di regolamentazione. Non si deve fare eccessivo affidamento su queste dichiarazioni.

Queste affermazioni comportano rischi e incertezze che potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano materialmente da quelli riportati in tali affermazioni, tra cui, a titolo esemplificativo, problemi imprevisti che potrebbero derivare da dati, analisi o risultati aggiuntivi ottenuti durante gli studi clinici; il verificarsi di eventi avversi di sicurezza; rischi di costi o ritardi imprevisti; il rischio di altri ostacoli imprevisti; la presentazione delle domande di autorizzazione potrebbe richiedere più tempo o essere più difficile da completare rispetto a quanto previsto; le autorità regolatorie potrebbero richiedere informazioni aggiuntive o ulteriori studi, o potrebbero non approvare o rifiutare di approvare o ritardare l'approvazione dei candidati farmaci di Biogen, compreso l'omaveloxolone; i tempi e i contenuti effettivi delle richieste e delle decisioni delle autorità regolatorie in merito all'omaveloxolone; l'incertezza del successo nello sviluppo e nella potenziale commercializzazione dell'omaveloxolone; l'incapacità di proteggere e far rispettare i dati, la proprietà intellettuale e gli altri diritti di proprietà di Biogen e le incertezze relative alle rivendicazioni e alle contestazioni in materia di proprietà intellettuale; le rivendicazioni in materia di responsabilità del prodotto; i rischi di collaborazione con terzi; gli impatti diretti e indiretti della pandemia COVID-19 in corso sull'attività, sui risultati delle operazioni e sulla condizione finanziaria di Biogen. Quanto sopra esposto illustra molti, ma non tutti, i fattori che potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano dalle aspettative di Biogen contenute in qualsiasi dichiarazione previsionale. Gli investitori dovrebbero considerare questa dichiarazione di cautela e i fattori di rischio identificati nella più recente relazione annuale o

trimestrale di Biogen e in altre relazioni che Biogen ha depositato presso la U.S. Securities and Exchange Commission. Queste dichiarazioni si riferiscono solo alla data del presente comunicato stampa. Biogen non si assume alcun obbligo di aggiornare pubblicamente le dichiarazioni previsionali.

Riferimenti:

1. **Friedreich's Ataxia Research Alliance.** "What is FA?" Available at: <https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia#>. Accessed November 2023.
2. **National Institute of Neurological Disorders and Stroke.** Friedreich Ataxia. Available at: <https://www.ninds.nih.gov/health-information/disorders/friedreich-ataxia>. Accessed November 2023.
3. **Schulz JB, Boesch S, Bürk K, Dürr A, Giunti P, Mariotti C, Pousset F, Schöls L, Vankan P, Pandolfo M.** Diagnosis and treatment of Friedreich ataxia: a European perspective. *Nat Rev Neurol.* 2009 Apr;5(4):222-34. doi: 10.1038/nrneurol.2009.26. PMID: 19347027.
4. **Fogel BL, Perlman S.** Clinical features and molecular genetics of autosomal recessive cerebellar ataxias. *Lancet Neurol.* 2007 Mar;6(3):245-57. doi: 10.1016/S1474-4422(07)70054-6. PMID: 17303531.
5. **Parkinson MH, Boesch S, Nachbauer W, Mariotti C, Giunti P.** Clinical features of Friedreich's ataxia: classical and atypical phenotypes. *J Neurochem.* 2013 Aug;126 Suppl 1:103-17. doi: 10.1111/jnc.12317. PMID: 23859346.
6. **Tsou AY, Paulsen EK, Lagedrost SJ, Perlman SL, Mathews KD, Wilmot GR, Ravina B, Koeppen AH, Lynch DR.** Mortality in Friedreich ataxia. *J Neurol Sci.* 2011 Aug 15;307(1-2):46-9. doi: 10.1016/j.jns.2011.05.023. Epub 2011 Jun 8. PMID: 21652007.
7. **Corben LA, Collins V, Milne S, Farmer J, Musheno A, Lynch D, Subramony S, Pandolfo M, Schulz JB, Lin K, Delatycki MB; Clinical Management Guidelines Writing Group.** Clinical management guidelines for Friedreich ataxia: best practice in rare diseases. *Orphanet J Rare Dis.* 2022 Nov 12;17(1):415. doi: 10.1186/s13023-022-02568-3. PMID: 36371255; PMCID: PMC9652828.

###

CONTATTI

Biogen

Alice Beretta

alice.beretta@biogen.com

Ilaria Prato

ilaria.prato@biogen.com

UFFICIO STAMPA BIOGEN

Edelman

Bianca Savonarola

340 835 2261

bianca.savonarola@edelman.com