

BIOGEN HA RICEVUTO L'APPROVAZIONE DALLA COMMISSIONE EUROPEA PER OMAVELOXOLONE, LA PRIMA TERAPIA PER IL TRATTAMENTO DELL'ATASSIA DI FRIEDREICH

- **L'Atassia di Friedreich è una rara malattia genetica neurodegenerativa, debilitante e con aspettativa di vita limitata**
- **Il trattamento con omaveloxolone ha migliorato le funzionalità neurologiche dei pazienti rispetto al placebo**
- **Facendo leva sulla propria esperienza e competenza nel campo delle malattie rare, Biogen si impegna a rendere disponibile questo trattamento innovativo per le persone con Atassia di Friedreich**

Milano – 13 febbraio 2024 – Biogen ha annunciato che la Commissione europea (CE) ha autorizzato l'utilizzo di omaveloxolone per il trattamento dell'Atassia di Friedreich (FA) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni. Omaveloxolone è il primo trattamento approvato nell'Unione europea per questa rara malattia genetica, neurodegenerativa e progressiva.¹

“Negli anni di pratica clinica ho potuto osservare l'impatto devastante che l'Atassia di Friedreich ha sulle persone che ne sono colpite e sulle loro famiglie”, ha affermato la dott.ssa Sylvia Boesch, MSc, sperimentatore principale dello studio MOXle e responsabile del Centro per disturbi rari del movimento di Innsbruck, Dipartimento di Neurologia, Università di Medicina di Innsbruck (Austria). “Le persone con Atassia di Friedreich trattate con omaveloxolone nell'ambito dello studio clinico hanno registrato miglioramenti rilevanti e clinicamente significativi nella quotidianità. Questa approvazione ha generato ottimismo all'interno della comunità: omaveloxolone ha il potenziale per inaugurare una nuova era nella gestione dell'Atassia di Friedreich”.

L'Atassia di Friedreich è la forma più comune di atassia ereditaria.^{2,3} I primi sintomi compaiono generalmente durante l'infanzia e comprendono la progressiva perdita di coordinazione, la debolezza muscolare e l'affaticamento.⁴ Con il progredire della malattia, possono insorgere anche problemi alla vista, all'udito, difficoltà nell'articolazione verbale e nella deglutizione, diabete, scoliosi e patologie cardiache gravi.⁵ Molte persone con FA necessitano di ausili per la deambulazione e spesso sono costrette all'utilizzo di una sedia a rotelle entro 10-20 anni dalla diagnosi.² Purtroppo, le complicazioni legate alla FA contribuiscono a ridurre l'aspettativa di vita media a 37 anni.⁵⁻⁷

“Biogen è orgogliosa di poter aggiungere omaveloxolone al proprio portfolio di terapie e di poter rispondere a un forte bisogno medico insoddisfatto, rendendo disponibile in Unione Europea il primo trattamento per l'Atassia di Friedreich alle persone che vivono con questa malattia”, ha affermato Matteo Papi, Direttore Medico di Biogen Italia. “Abbiamo già avviato la collaborazione con la comunità medica e le autorità locali per garantire l'accesso al trattamento nel più breve tempo possibile. Il nostro ringraziamento va innanzitutto alla comunità di persone con Atassia di Friedreich, per il loro fondamentale contributo allo sviluppo di omaveloxolone, che ha reso possibile l'approvazione odierna.

L'approvazione di omaveloxolone da parte della Commissione europea si basa sui dati di efficacia e sicurezza provenienti dallo studio controllato con placebo MOXle parte 2. Al termine delle 48 settimane, i pazienti che avevano ricevuto omaveloxolone presentavano punteggi significativamente migliori sulla scala di valutazione dell'Atassia di Friedreich modificata (modified Friedreich Ataxia Rating Scale, mFARS) rispetto al gruppo placebo. Tutti i componenti della valutazione mFARS, tra cui la capacità di deglutire (funzionalità bulbare), la coordinazione degli arti superiori, la coordinazione degli arti inferiori e la stabilità in posizione eretta, erano favorevoli a omaveloxolone rispetto a placebo. Ulteriori dati esplorativi sono stati forniti grazie a un'analisi post hoc e propensity-matched in cui i pazienti trattati con omaveloxolone nello studio MOXle (estensione) hanno ottenuto punteggi mFARS più bassi 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.

“L’approvazione di omaveloxolone da parte della Commissione Europea, che mette a disposizione della comunità dell’Atassia di Friedreich nell’UE la prima terapia approvata, è una pietra miliare verso un accesso globale al trattamento”, ha dichiarato Jennifer Farmer, Chief Executive Officer della Friedreich's Ataxia Research Alliance (FARA). “Siamo grati a tutti i ricercatori, ai Centri clinici, alle persone che convivono con l’Atassia di Friedreich e alle loro famiglie, alle Associazioni Pazienti, a Biogen e all’Agenzia Europea per i Medicinali per tutti gli sforzi, in termini di ricerca e sviluppo del farmaco e di sensibilizzazione, che hanno portato a questa approvazione. Non vediamo l’ora di continuare la nostra collaborazione con la comunità dell’Atassia di Friedreich con l’obiettivo di favorire l’accesso al trattamento dove è necessario”.

“L’associazione di pazienti Euro-ataxia accoglie con favore l’approvazione da parte della Commissione europea di omaveloxolone, una terapia che va a rispondere a un importante bisogno insoddisfatto nei paesi dell’UE”, ha dichiarato Andreas Nadke, Presidente di Euro-ataxia. “I nostri associati hanno lavorato molti anni per veder arrivare questa giornata tanto attesa. Siamo convinti che da oggi si apra un periodo ricco di significative novità nel trattamento della FA”.

Per ulteriori informazioni sul trattamento, è possibile consultare il Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto sul sito web dell’Agenzia Europea dei Medicinali all’indirizzo www.ema.europa.eu. Omaveloxolone è stato approvato anche negli Stati Uniti e Biogen continua a collaborare con le autorità regolatorie di altri Paesi per rendere disponibile il trattamento.

Informazioni su omaveloxolone

Omaveloxolone è un farmaco 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 un’azienda globale leader nel campo delle biotecnologie con un approccio scientifico pionieristico, che offre terapie innovative in grado di trasformare la vita delle persone e di creare valore per le comunità in cui opera. Grazie alla nostra profonda conoscenza della biologia umana siamo in grado di sviluppare trattamenti all’avanguardia che offrono benefici significativi. Ci assumiamo i rischi bilanciando il ritorno sugli investimenti, per ottenere una crescita a lungo termine.

Dichiarazione cautelativa

Il presente comunicato contiene dichiarazioni a carattere previsionale in merito ai benefici, alla sicurezza e all’efficacia potenziali di omaveloxolone, alle possibili discussioni, richieste e approvazioni in ambito regolatorio, nonché alle relative tempistiche, al trattamento dell’atassia di Friedreich, al potenziale dei programmi di sviluppo farmaceutico e commerciale di Biogen, inclusa l’atassia di Friedreich, così come ai rischi e alle incertezze associate allo sviluppo e alla commercializzazione dei farmaci. Tali dichiarazioni possono essere identificate da termini come “puntare”, “anticipare”, “credere”, “potrebbe”, “stimare”, “aspettarsi”, “prevedere”, “intendere”, “può”, “programmare”, “possibile”, “potenziale”, “sarà”, “sarebbe” e termini ed espressioni dal significato simile. Lo sviluppo e la commercializzazione dei farmaci comportano rischi molto elevati e solo un esiguo numero di programmi di ricerca e sviluppo sfociano nella commercializzazione di un prodotto. I risultati degli studi clinici nelle fasi iniziali possono non essere indicativi dei risultati completi, o dei risultati ottenuti nelle fasi successive o al completamento degli studi clinici condotti su una scala più grande e

non garantiscono l'approvazione regolamentare. È importante non prestare eccessiva fiducia a tali dichiarazioni.

Queste affermazioni sono soggette a rischi e incertezze che potrebbero determinare divergenze sostanziali tra i risultati effettivi e il contenuto delle affermazioni stesse, che includono, a titolo indicativo e non limitativo, la possibilità che insorgano preoccupazioni inattese dai dati o dalle analisi aggiuntive o dai risultati ottenuti nel corso degli studi clinici; i rischi legati all'insorgere di eventi avversi; i rischi legati a costi o ritardi inattesi; i rischi legati ad altre complicazioni impreviste; la possibilità che le procedure di regolamentazione richiedano più tempo o siano più difficili del previsto; la possibilità che le autorità di regolamentazione richiedano dati o informazioni supplementari o l'esecuzione di ulteriori studi, o che non approvino o si rifiutino di approvare i farmaci sperimentali di Biogen, incluso omaveloxolone, o che ne ritardino l'approvazione; i tempi e i contenuti effettivi delle richieste inoltrate alle autorità regolatorie e alle decisioni delle stesse in merito ad omaveloxolone; l'incertezza del successo e della potenziale commercializzazione di omaveloxolone; l'incapacità di proteggere e far rispettare i dati, la proprietà intellettuale e gli altri diritti di proprietà di Biogen, come pure le incertezze legate alle controversie e alle problematiche sulla proprietà intellettuale; l'assunzione di responsabilità sui prodotti; i rischi legati alla collaborazione con terze parti; le conseguenze dirette e indirette della pandemia in corso di COVID-19 sull'attività, sui risultati e sulle condizioni finanziarie di Biogen. Quanto riportato esemplifica molti, ma non tutti, i fattori che potrebbero causare una discrepanza tra i risultati effettivi e le aspettative di Biogen espresse nelle dichiarazioni previsionali. Gli investitori dovrebbero tenere in considerazione la presente dichiarazione cautelativa, nonché i fattori di rischio identificati nel report annuale o trimestrale redatto più di recente da Biogen o nelle altre relazioni depositate da Biogen presso la Securities and Exchange Commission degli Stati Uniti. Queste dichiarazioni sono da ritenersi valide solo fino alla data del presente comunicato stampa. Biogen non si assume alcun obbligo di rilasciare pubblicamente alcuna revisione delle dichiarazioni a carattere previsionale.

Riferimenti bibliografici:

1. **Friedreich's Ataxia Research Alliance. "What is FA?"** Consultabile all'indirizzo: <https://www.curefa.org/what-is-friedreichs-ataxia#>. Consultato in febbraio 2024.
2. **National Institute of Neurological Disorders and Stroke. Friedreich Ataxia.** Consultabile all'indirizzo: <https://www.ninds.nih.gov/health-information/disorders/friedreich-ataxia>. Consultato in febbraio 2024.
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, 8 giugno 2011 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