**Pubblicato nuovo studio che dimostra il potenziale di rFVIIIFc nel miglioramento degli standard di cura nell’emofilia**

Una nuova analisi, condotta da un team di ricercatori accademici e SOBI, Swedish Orphan Biovitrum (STO: SOBI), pubblicata nell’edizione online di *Haemophilia*, la rivista scientifica organo ufficiale della *World Federation of Hemophilia*, dimostra che efmoroctocog alfa (rFVIIIFc) offre buone possibilità di miglioramento degli standard di cura per le persone che convivono con l’emofilia A, grazie ad una maggiore flessibilità nella personalizzazione del trattamento, basata sulle esigenze individuali del paziente[[1]](#endnote-1)1.

Nell’analisi, i livelli di FVIII dei pazienti hanno dimostrato che rFVIIIFc potrebbe aumentare la protezione dai sanguinamenti con un consumo settimanale di fattore simile a quello della terapia sostitutiva convenzionale, riducendo però il numero di infusioni endovenose. I livelli di FVIII sono spesso considerati un parametro utileper definire il livello di protezione e sono frequentemente utilizzati nella pratica clinica per monitorare la terapia. L’analisi approfondisce alcuni degli outcome degli studi precedenti che riguardavano, principalmente, i risultati clinici ottenuti con vari livelli di dosaggio.

“Lo scopo del trattamento profilattico nell’emofilia A è la prevenzione degli episodi emorragici” ha affermato Alessandra Antonello, *Medical Director* di Sobi Italia. “L’analisi farmacocinetica condotta dimostra il potenziale dei fattori ricombinanti ad emivita prolungata, nello specifico il potenziale di rFVIIIFc, nell’offrire l’opportunità di personalizzare il trattamento profilattico in base al fenotipo emorragico del paziente, fornendo così una maggiore protezione contro i sanguinamenti senza, necessariamente, aumentare il consumo complessivo di fattore”.

L'emofilia A è una malattia genetica rara che pregiudica il normale processo di coagulazione del sangue dell’individuo a causa dell’assenza parziale o totale del fattore VIII (FVIII). Le persone affette da emofilia A sono soggette a episodi di sanguinamento che possono causare dolore, danni articolari irreversibili ed emorragie anche mortali. Le infusioni profilattiche di fattore VIII possono sostituire temporaneamente il fattore della coagulazione mancante con l’obiettivo di prevenire gli episodi emorragici[[2]](#endnote-2)2.

In profilassi, un livello di FVIII pari a 1 UI/dL è, spesso, consigliato come soglia minima per prevenire gli episodi di sanguinamento. Per alcuni pazienti, tuttavia, non è sufficiente. L’emivita relativamente breve delle terapie sostitutive convenzionali rende necessaria una somministrazione endovenosa frequente e questo può rappresentare un limite per un trattamento ottimale[[3]](#endnote-3)3. rFVIIIFc, grazie alla sua *clearance* ridotta ed alla sua emivita prolungata, è potenzialmente in grado di migliorare la protezione dai sanguinamenti, senza aumentare, complessivamente, il consumo di fattore o l’impatto del trattamento stesso.

---

**L’emofilia A**

L’emofilia A è una malattia genetica rara e cronica che provoca problemi di coagulazione del sangue dovuti all’assenza o alla produzione ridotta di una proteina: il fattore VIII della coagulazione. Chi soffre di emofilia è soggetto a sanguinamenti ricorrenti ed estesi, tra cui emartri, che causano dolore e provocano danni articolari irreversibili. Alcuni di questi episodi emorragici possono mettere a repentaglio la vita del paziente. Secondo le stime della World Federation of Hemophilia, nel mondo ci sono 140.000 persone che soffrono di emofilia A[[4]](#endnote-4)4. In Italia si stima che ne siano affette circa 3.700 persone.

**rFVIIIFc**

rFVIIIFc, efmoroctocog alfa è la prima terapia ricombinante del fattore VIII della coagulazione approvata nell’Ue che offre una emivita prolungata nel corpo. È indicata per il trattamento e la profilassi di episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A (carenza del fattore VIII) e può essere utilizzata da persone di tutte le età. rFVIIIFc è stata sviluppata legando ad una molecola del fattore VIII, con delezione del dominio B, la porzione Fc dell’immunoglobulina umana IgG1 (proteina che si trova comunemente nel corpo). Si ritiene che ciò consenta di utilizzare una via naturalmente esistente nell’organismo per prolungare l’emivita della terapia nel corpo. Benché la fusione con la porzione Fc sia una tecnica in uso da oltre 15 anni, Sobi e Biogen sono le prime aziende a usarla per il trattamento dell’emofilia. Come con qualsiasi altra proteina iniettabile, in seguito alla somministrazione di rFVIIIFc, possono presentarsi episodi di ipersensibilità di tipo allergico o lo sviluppo di inibitori.

**Sobi**

Sobi è una azienda multinazionale farmaceutica che dedica la propria attività alle malattie rare. La *mission* aziendale è sviluppare e rendere disponibili terapie e servizi innovativi che migliorino la vita dei pazienti. Le opzioni terapeutiche offerte sono principalmente focalizzate sull’emofilia, le malattie infiammatorie e le malattie genetiche. Sobi commercializza, inoltre, farmaci per malattie specialistiche e rare per diverse aziende partner in Europa, Medio-Oriente, Nord Africa e Russia. Sobi è azienda pioniera nell’ambito delle biotecnologie, con capacità riconosciute a livello mondiale nella biochimica proteica e nella produzione di farmaci biologici. Nel 2014 Sobi ha raggiunto un fatturato totale di 380 milioni di dollari (USD) e circa 600 dipendenti. Sobi è quotata al NASDAQ OMX Stockholm. Per maggiori informazioni: [www.sobi-italia.it](http://www.sobi-italia.it).

**Per ulteriori informazioni:**

Leonardo Calzetti, General Manager Italy, Greece & Malta Oskar Bosson, Head of Communications

T: +39 0521 19111 T: +46 70 410 71 80

E: leonardo.calzetti@sobi.com E: oskar.bosson@sobi.com

1. 1 Berntorp E, Négrier C, Gozzi P, Blaas P-M, and Lethagen S. Dosing regimens, FVIII levels and estimated haemostatic protection with special focus on rFVIIIFc. Haemophilia 2016. Article first published online: 11 Feb 2016. DOI: 10.1111/hae.12887 [↑](#endnote-ref-1)
2. 2 Hemophilia Federation of America. What is Hemophilia? Available at: http://www.hemophiliafed.org/bleeding-disorders/hemophilia/treatment/. Accessed: November 15 [↑](#endnote-ref-2)
3. 3 Carcao M. Changing paradigm of prophylaxis with longer acting factor concentrates. Haemophilia 2014;20: 99–105 [↑](#endnote-ref-3)
4. 4 World Federation of Hemophilia. Annual Global Survey 2012. [http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1574.pdf](http://cts.businesswire.com/ct/CT?id=smartlink&url=http%3A%2F%2Fwww1.wfh.org%2Fpublications%2Ffiles%2Fpdf-1574.pdf&esheet=50841785&newsitemid=20140410005288&lan=en-US&anchor=http%3A%2F%2Fwww1.wfh.org%2Fpublications%2Ffiles%2Fpdf-1574.pdf&index=6&md5=6f0612de6d2428a5ae62e4db05f55985). Accessed July 2015. [↑](#endnote-ref-4)