**Il COMP raccomanda di mantenere la designazione a farmaco orfano di rFIXFc per il trattamento dell’emofilia B**

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi ™) (STO: Sobi) con il partner Biogen (NASDAQ: BIIB), hanno ricevuto il parere positivo del COMP (*Committee for Orphan Medicinal Products*) dell’Agenzia europea per i medicinali (EMA: *European Medicines Agency*), che raccomanda alla Commissione europea di mantenere la designazione a farmaco orfano di rFIXFc (eftrenonacog alfa), proteina di fusione ricombinante costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell’IgG1 umana per il trattamento dell’emofilia B. La raccomandazione del COMP è ora passata alla Commissione Europea, responsabile dell’autorizzazione all'immissione in commercio per i medicinali nell’Unione europea.

La domanda di autorizzazione all’immissione in commercio di rFIXFc è stata presentata all’Agenzia europea per i medicinali lo scorso giugno 2015. A febbraio 2016, Sobi e Biogen hanno ricevuto il parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell’EMA per rFIXFc. Se confermata l’approvazione e la designazione a farmaco orfano, eftrenonacog alfa sarà inserito nel Registro Comunitario dei Medicinali Orfani (*Community Register of Orphan Medicinal Products*).

---

**Designazione di un farmaco orfano**

Un nuovo medicinale per ricevere la designazione a farmaco orfano nell’Unione europea deve essere destinato al trattamento di una determinata patologia che non abbia un’incidenza superiore a 5 su 10.000 individui a livello Ue e per i quali non esistano trattamenti soddisfacenti; se presenti, invece, è necessario che il nuovo farmaco apporti benefici significativi per le persone colpite dalla malattia. La designazione può essere, inoltre, riconosciuta se per il nuovo farmaco non è previsto un ritorno economico sufficiente a giustificare l’investimento. La designazione a medicinale orfano nella Ue può fornire vantaggi al prodotto, compreso un periodo di 10 anni di esclusiva nel mercato verso prodotti simili, a seguito della autorizzazione all’immissione in commercio.

**L’emofilia B**

L'emofilia B è causata dalla presenza ridotta o assente del fattore IX, necessario per la normale coagulazione del sangue.[[1]](#footnote-1) Secondo gli ultimi dati della *World Hemophilia Federation* sono circa 28.500 le persone colpite da emofilia B nel mondo.[[2]](#footnote-2)

Le persone affette da emofilia B sono soggette a sanguinamenti che possono causare loro dolore, disabilità e danni irreversibili alle articolazioni. Nel peggiore dei casi, questi episodi possono danneggiare gli organi interni e portare ad emorragie anche letali. Le somministrazioni endovenose di fattore IX della coagulazione sostituiscono temporaneamente i fattori della coagulazione necessari per tenere sotto controllo i sanguinamenti e, quando usati come profilassi, prevengono nuovi episodi emorragici. 1

**rFIXFc**

rFIXFc (eftrenonacog alfa) è una proteina di fusione ricombinante a lunga durata d’azione costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell’IgG1 umana (una proteina che si trova comunemente nel corpo) studiata per il trattamento dell’emofilia B. Si ritiene che ciò consenta a rFIXFc di utilizzare una via naturalmente esistente nell’organismo per prolungare così il tempo di permanenza in esso. 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. Il trattamento con rFIXFc è, attualmente, approvato per l’emofilia B negli Stati Uniti, in Canada, Giappone, Australia e in Nuova Zelanda, dove è stata la prima terapia approvata per l’emofilia B per una protezione prolungata dai sanguinamenti. La somministrazione di rFIXFc, come di qualsiasi altra proteina iniettabile, potrebbe associarsi ad episodi di ipersensibilità di tipo allergico o allo sviluppo di inibitori.

Sobi e il suo partner Biogen collaborano nello sviluppo e nella commercializzazione di rFIXFc per l'emofilia B. Sobi possiede i diritti sullo sviluppo e commercializzazione finale nel territorio Sobi, essenzialmente in Europa, Nord Africa, Russia e nei mercati del Medio Oriente. Biogen guida lo sviluppo e la produzione di rFIXFc e possiede i diritti di commercializzazione nel Nord America e in tutte le altre regioni del mondo, ad esclusione del territorio Sobi.

**Sobi**

Sobi è un’azienda multinazionale biofarmaceutica che dedica la propria attività alle malattie rare. La nostra 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 2015 Sobi ha raggiunto un fatturato totale di 385 milioni di dollari (USD) e circa 700 dipendenti. Sobi è quotata al NASDAQ OMX di Stoccolma. Per maggiori informazioni: [www.sobi-italia.it](http://www.sobi-italia.it).

**Per ulteriori informazioni:**

Sergio Lai, General Manager Italy, Greece & Malta                                               Oskar Bosson, Head of Communications

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

E: [sergio.lai@sobi.com](mailto:sergio.lai@sobi.com)                                                                           E: [oskar.bosson@sobi.com](javascript:linkTo_UnCryptMailto('jxfiql7lphxo+ylpplkXplyf+zlj');)

1. World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B>. Accessed on: February 11, 2016 [↑](#footnote-ref-1)
2. World Federation of Hemophilia. Report on the Annual Global Survey 2013. Available at: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1591.pdf>. Accessed on: February 11, 2016. [↑](#footnote-ref-2)