

2° IMPRESA FARMACEUTICA: PROTALIX

La Protalix presenta ulteriori dati della Fase III relativi al trattamento con taliglucerasse alfa al Simposio mondiale (WORLD Symposium)

<http://www.prnewswire.com/news-releases/protalix-presents-additional-phase-iii-data-for-taliglucerasse-alfa-at-the-world-symposium-84116022.htm>

CARMIEL, Israele, 11 febbraio /PRNewswire-FirstCall/ -- La Protalix BioTherapeutics, Inc. (NYSE-Amex: PLX), ha annunciato ieri che sono stati presentati ulteriori dati relativi al cruciale trial clinico di Fase III relativo trattamento con taliglucerasse alfa di pazienti affetti dalla malattia di Gaucher nel corso dell'incontro annuale della Lysosomal Disease Network (Rete malattie lisosomiali) al World Symposium tenutosi a Miami, in Florida, nel corso di una sessione intitolata, "Nuova terapia enzimatica sostitutiva per la malattia di Gaucher: Trial clinico cruciale di Fase III con glucocerebrosidase umano ricombinante (prGCD) espresso da cellule vegetali - taliglucerasse alfa." La presentazione orale è stata fatta dalla D.ssa Hanna Rosenbaum, Direttrice dell'Unità di assistenza diurna di ematologia del Centro medico RAMBAM, situato ad Haifa in Israele e ricercatrice principale dello studio.

"Ritengo che i dati del Trial di Fase III dimostrino che la taliglucerasse alfa è ben tollerata e clinicamente efficace nel trattamento della malattia di Gaucher," ha affermato la D.ssa Dr. Hanna Rosenbaum.

Il cruciale trial clinico di Fase III è stato uno studio dose-ranging multicentrico a livello mondiale, randomizzato, in doppio cieco e in gruppo parallelo per valutare la sicurezza e l'efficacia della taliglucerasse alfa in 31 pazienti naive al trattamento affetti dalla malattia di Gaucher. Nel trial, i pazienti sono stati selezionati in modo randomizzato per uno dei due bracci di dosaggio (60 U/kg o 30 U/kg) e hanno ricevuto infusioni endovenose di taliglucerasse alfa ogni due settimane per un periodo di nove mesi. L'endpoint primario dello studio era una riduzione media del 20% del volume della milza dal basale dopo nove mesi, misurata tramite risonanza magnetica (MRI). I principali endpoint secondari erano invece un aumento dell'emoglobina, una riduzione del volume epatico e l'aumento della conta piastrinica. Il trial ha reclutato pazienti in 11 centri in tutta Europa, in Israele, dell'America del Nord e del Sud e in Sud Africa.

La Taliglucerasse alfa ha significativamente ridotto il volume medio della milza dopo nove mesi rispetto al basale in entrambi i gruppi di trattamento. Il gruppo con dosaggio pari a 60 U/kg ha fatto prova di una riduzione media statisticamente significativa del volume della milza del 38,0% ($p < 0.0001$) ed il gruppo con dosaggio pari a 30 U/kg ha mostrato invece una riduzione media significativa nel volume della milza del 26,9% ($p < 0.0001$). Inoltre, l'endpoint primario è stato centrato in entrambi i gruppi di trattamento solo dopo 6 mesi di terapia.

Sono stati osservati anche miglioramenti statisticamente significativi per gli endpoint secondari dopo nove mesi per il dosaggio di 60 U/kg rispetto al basale. I pazienti hanno mostrato un aumento medio dell'emoglobina di 2,2 g/dL o 22,2% ($p < 0,0001$), una riduzione media del volume epatico del 11,1% ($p < 0,0001$) ed un aumento medio della conta piastrinica pari a 41,494 ml o 72,1% ($p = 0,0031$). Per i pazienti riceventi un dosaggio pari a 30 U/kg, sono stati osservati miglioramenti statisticamente significativi per il livello di emoglobina dopo nove mesi rispetto al basale (aumentata a 1,6 g/dL o 14,8%; $p = 0,0010$) e per il volume epatico (diminuito del 10,48%; $p = 0,0041$); è stato riscontrato anche un aumento nominale della conta piastrinica (11,427 ml o 13,7%; $p = 0,0460$).

L'attività di chitotriosidase, un marker biologico dei sintomi clinici della malattia di Gaucher, è stata misurata nei trenta pazienti partecipanti al trial. In questi pazienti, l'attività di chitotriosidase è diminuita rispetto al basale in entrambi i gruppi con dosaggio 30U/kg e

60U/kg rispettivamente del 47,3% e del 58,4%.

L'analisi sulla sicurezza per entrambi i gruppi di trattamento ha mostrato che la taliglucerasse alfa è stata ben tollerata e non sono stati riferiti seri o gravi eventi avversi. Due pazienti partecipanti al trial hanno sviluppato anticorpi contro la taliglucerasse alfa e nessun paziente ha sviluppato anticorpi neutralizzanti. Inoltre, due pazienti hanno avuto reazioni di ipersensibilizzazione alla taliglucerasse alfa. Non sono stati rilevati anticorpi anti-taliglucerasse in questi pazienti ed entrambe le reazioni sono state curate a livello ambulatoriale e risolte.

La maggior parte degli eventi avversi sono stati considerati non collegati alla taliglucerasse alfa. L'evento avverso più frequente di intensità da lieve a moderata è stato la cefalea. Altri eventi avversi moderati hanno incluso vertigini, spasmi muscolari, fastidio toracico, irritazione cutanea e artralgia.

"I risultati di Fase III riferiti oggi non solo supportano l'uso del taliglucerasse alfa per il trattamento della malattia di Gaucher, ma anche la tecnologia su piattaforma basata su cellule vegetali," ha affermato il Dr. David Aviezer, Presidente e Amministratore delegato della Protalix. "I pazienti che hanno completato con successo questo studio cardine hanno continuato ad assumere la taliglucerasse alfa nell'ambito dell'estensione dello studio ancora in corso, alcuni per oltre due anni e mezzo."

L'Azienda al momento sta conducendo uno studio a livello mondiale sulla sicurezza e l'efficacia del passaggio alla taliglucerasse alfa dalla terapia enzimatica sostitutiva attualmente approvata. Inoltre, la taliglucerasse alfa è fornita a pazienti negli Stati Uniti in virtù di un protocollo di accesso esteso e a pazienti nell'Unione Europea, in Israele e in altri paesi in virtù di disposizioni a carattere nominativo.