

# **Richiesta a Protalix da parte della FDA di prendere in considerazione la presentazione di un protocollo di trattamento per l'uso di prGCD in pazienti affetti da malattia di Gaucher e che consenta un accesso esteso al prGCD**

- **Comunicato stampa**
- <http://finance.yahoo.com/news/Protalix-Approached-by-the-bw-197631700.html?x=0&.v=1>

CARMIEL, Israele--(BUSINESS WIRE)--Protalix Biotherapeutics, Inc. (NYSE-Amex:PLX), ha annunciato oggi di essere stata contattata dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense, che ha richiesto di prendere in considerazione la presentazione di un protocollo di trattamento per l'uso del prGCD in pazienti affetti da malattia di Gaucher in modo da poter far fronte a una prevista carenza del farmaco Cerezyme®, una variante di glucocerebrosidasi (GCD) espressa in cellule di mammiferi e unica terapia di sostituzione enzimatica attualmente approvata per la malattia di Gaucher. La malattia di Gaucher è una rara e grave patologia da accumulo lisosomiale che presenta sintomi gravi e debilitanti. Il prGCD, candidato a prodotto principale dell'azienda, è una forma ricombinante proprietaria di glucocerebrosidasi espressa in cellule vegetali, attualmente oggetto di sperimentazione clinica nella Fase III per il trattamento della malattia di Gaucher.

La FDA ha comunicato all'azienda di ritenere che il suo programma di sviluppo per il prGCD soddisfi i criteri normativi richiesti per fornire prGCD per l'accesso esteso ai pazienti in base a un protocollo di trattamento. Secondo le attuali normative FDA, è possibile presentare un protocollo di trattamento per un farmaco che ancora non è stato approvato per il mercato ma che è oggetto di sviluppo clinico per una patologia grave o pericolosa per la vita e per la quale non risultano disponibili un farmaco o una terapia alternativa paragonabili o soddisfacenti. L'azienda e la FDA stanno discutendo sui parametri di un protocollo di trattamento che consentirebbe a un maggior numero di pazienti affetti dalla malattia di Gaucher di avere accesso al prGCD. L'azienda spera di presentare un protocollo di trattamento alla FDA, per sottoporlo al suo esame, a integrazione dell'attuale applicazione Investigational New Drug (IND) dell'azienda per il prGCD.

## **Informazioni su Protalix BioTherapeutics**

Protalix è un'azienda biofarmaceutica. Il suo obiettivo è diventare una società biofarmaceutica pienamente integrata, incentrata sullo sviluppo e la commercializzazione di proteine terapeutiche ricombinanti proprietarie da esprimere

attraverso il proprio sistema di espressione proprietario basato su cellule vegetali. ProCellEx (TM) di Protalix presenta un metodo proprietario per l'espressione di proteine ricombinanti che Protalix ritiene consentiranno la produzione efficace in termini di costi e su scala industriale di proteine terapeutiche ricombinanti in un ambiente privo di componenti di origine mammifera e virale. Protalix sta conducendo uno studio di fondamentale importanza, giunto alla fase III, per il suo candidato a prodotto leader - il prGCD - destinato a essere utilizzato nella terapia di sostituzione enzimatica per la malattia di Gaucher, patologia dovuta all'accumulo lisosomiale nell'uomo. Protalix ha raggiunto un accordo con la Food and Drug Administration statunitense sul progetto definitivo della sperimentazione clinica della fase III attraverso la procedura di Special Protocol Assessment (SPA) della FDA. Protalix ha completato la registrazione per questo studio e sta curando i pazienti nella sua sperimentazione clinica di fase III in America del Nord, America del Sud, Israele, Europa e Sud Africa. Lo studio è monitorato da un apposito comitato indipendente, comprendente esperti nel settore che verificano costantemente i dati relativi alla sicurezza e che ha recentemente tenuto l'ultima riunione programmata prima del termine della sperimentazione. Nello studio non sono stati segnalati eventi nocivi gravi. Protalix sta anche portando avanti altri programmi di sviluppo per farmaci biofarmaceutici ricombinanti.

#### **Dichiarazione “Safe Harbor”:**

Nella misura in cui le dichiarazioni in questo comunicato stampa non sono strettamente storiche, esse sono previsionali nell'accezione attribuita dalle clausole “safe-harbor” del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali valutazioni e ipotesi su avvenimenti futuri sono soggette a rischi e a incertezze noti e sconosciuti che potrebbero fare sì che i risultati effettivi siano sostanzialmente diversi da quelli descritti nelle dichiarazioni previsionali. Queste affermazioni si basano sulle nostre attuali convinzioni e aspettative relativamente ai risultati futuri. La scoperta e lo sviluppo di farmaci comportano un elevato grado di rischio. I fattori che potrebbero provocare differenze sostanziali comprendono, tra gli altri, i rischi relativi a: positivo sviluppo preclinico dei nostri prodotti candidati; completamento delle sperimentazioni cliniche; processo di revisione della FDA, di enti regolatori stranieri e di altri organismi di regolamentazione governativa, compreso il processo di revisione della FDA di qualsiasi nostra archiviazione collegata al protocollo di trattamento; ritardi nell'approvazione da parte della FDA o di altri enti normativi sanitari delle richieste che presentiamo o dei rifiuti di approvare tali richieste; rifiuti da parte di tali autorità di regolamentazione di approvare la commercializzazione e la vendita di un farmaco anche dopo l'accettazione di una richiesta che presentiamo per un qualsiasi farmaco; identificazione dei composti principali; rischio che potremmo non riuscire a soddisfare determinate condizioni relative agli aiuti che abbiamo ricevuto dall'Office of the Chief Scientist del Ministero israeliano dell'Industria e del Commercio, che potrebbe comportare l'obbligo da parte nostra di rimborsare le sovvenzioni ricevute in precedenza, con l'aggiunta di interessi e sanzioni; rischio che l'Office of the Chief Scientist possa non fornirci tutti i fondi a noi assegnati; incertezze relative alla capacità di attrarre e conservare i partner per le nostre tecnologie e i prodotti in fase di sviluppo; altri fattori descritti nei nostri dati archiviati presso la Securities and Exchange Commission. La FDA potrebbe non approvare il protocollo di trattamento che l'azienda intende presentare e, se tale protocollo di trattamento venisse presentato ed approvato, il prGCD potrebbe essere fornita solo a un numero limitato di pazienti e

solo per un periodo di tempo limitato. Le aziende farmaceutiche e biotecnologiche hanno subito significative battute d'arresto nelle sperimentazioni cliniche avanzate, anche dopo i risultati promettenti ottenuti nelle sperimentazioni cliniche precedenti o nei riscontri preliminari per tali sperimentazioni cliniche. L'approvazione da parte della FDA di un protocollo di trattamento per quanto riguarda il prGCD non avrà alcun effetto sull'approvazione della FDA di qualsiasi eventuale NDA (accordo di non divulgazione) presentato dall'azienda in relazione al prGCD. Le dichiarazioni sono valide solo a decorrere dalla data della presente sentenza e si declina ogni obbligo di aggiornamento di tali informazioni.