

Dupilumab approvato dalla Commissione Europea come primo e unico farmaco biologico per il trattamento della dermatite atopica grave in bambini tra 6 e 11 anni

- * Gli studi registrativi hanno mostrato che il numero di bambini che ha ottenuto una riduzione del prurito e una pelle priva o quasi di lesioni è stato rispettivamente di quattro e tre volte superiore con dupilumab più corticosteroidi topici (TCS) rispetto ai soli TCS
- * La maggior parte dei bambini ha ottenuto un sostanziale miglioramento di estensione e gravità della malattia e miglioramenti clinicamente significativi in un insieme composito di parametri relativi alla qualità di vita, che ha preso in esame il sonno, la scuola, il benessere emotivo e le relazioni
- * L'approvazione in questa popolazione rafforza il ben consolidato profilo di sicurezza a lungo termine di dupilumab

Milano, 2 dicembre 2020 – La Commissione Europea ha esteso l'autorizzazione alla commercializzazione di dupilumab nell'Unione Europea per includere i bambini da 6 a 11 anni con dermatite atopica grave che sono candidati alla terapia sistemica. Dupilumab è l'unico farmaco sistemico approvato nella UE per il trattamento di questi pazienti.

*"Da medico che quotidianamente incontra pazienti e famiglie che convivono con la dermatite atopica grave, ho verificato in prima persona l'enorme impatto di questa malattia sulla salute fisica e mentale dei più piccoli e di chi si prende cura di loro, e il peso che può gravare sull'intera famiglia," commenta **Ketty Peris**, Società Italiana di Dermatologia medica, chirurgica, estetica e delle Malattie Sessualmente Trasmesse. "Per i bambini con dermatite atopica grave vi sono oggi poche opzioni di trattamento, mentre sono significativi i bisogni insoddisfatti. Dupilumab ha mostrato, con un profilo di sicurezza ed efficacia consolidato, di ridurre l'estensione delle lesioni e la gravità complessiva della malattia, agendo sul prurito e migliorando la qualità della vita dei pazienti. Inoltre, la nostra esperienza di oltre due anni di utilizzo di dupilumab nel paziente adulto ci conferma l'efficacia del farmaco nella pratica clinica e ci rassicura sul suo utilizzo anche nei bambini. Contiamo di poter dare presto risposte sostanziali ai loro bisogni e a quelli delle loro famiglie, che oggi subiscono un forte impatto da questa malattia."*

La dermatite atopica è una malattia infiammatoria cronica della pelle che può essere debilitante e, nelle forme gravi, può avere un impatto significativo su molti aspetti della vita dei bambini e delle famiglie. L'attuale standard di cura per i bambini con dermatite atopica grave in Europa è limitato ai trattamenti topici, lasciando chi presenta una malattia scarsamente controllata a dover convivere con un prurito intenso e inesorabile e lesioni cutanee che possono coprire gran parte del corpo, con conseguenti screpolature della pelle, arrossamento o iperpigmentazione, formazione di croste ed essudazione. Inoltre, la dermatite atopica grave non controllata può avere un impatto emotivo e psicosociale sostanziale, causando disturbi del sonno, sintomi di ansia e depressione e sentimenti di isolamento nei bambini.

“L'approvazione di dupilumab per i bambini in Europa segna un altro traguardo significativo per i pazienti con dermatite atopica e le loro famiglie, ampliando la disponibilità di un farmaco innovativo che offre un trattamento sicuro ed efficace per questa malattia cutanea debilitante,” afferma John Reed, Global Head of Research and Development di Sanofi. *“La capacità di dupilumab di ottenere una cute significativamente più pulita dalle lesioni e una riduzione clinicamente significativa del prurito persistente risponde a importanti esigenze terapeutiche irrisolte per questi bambini. Oltre alla dermatite atopica, continuiamo a esplorare il potenziale di dupilumab in popolazioni più giovani e in una gamma di altre patologie scatenate dall'infiammazione di tipo 2.”*

Dupilumab è un anticorpo monoclonale completamente umano che inibisce la segnalazione delle interleuchine 4 e 13 (IL-4 e IL-13) e non è un immunosoppressore. I dati dagli studi clinici di dupilumab hanno mostrato che IL-4 e IL-13 sono due proteine chiave nell'infiammazione di tipo 2, che svolge un ruolo fondamentale nella dermatite atopica, nell'asma e nella rinosinusite cronica con poliposi nasale.

“L'approvazione di dupilumab nella UE rappresenta un importante passo in avanti per i bambini con dermatite atopica grave e le loro famiglie, le quali trascorrono innumerevoli giorni e notti prendendosi cura della malattia del loro bambino con poche opzioni di trattamento che possano alleviare sintomi debilitanti”, afferma George D. Yancopoulos, Presidente e Direttore Scientifico di Regeneron. *“Dupilumab è una nuova terapia che affronta una causa principale della dermatite atopica, mirando specificamente all'infiammazione di tipo 2 sottostante alla malattia. Dupilumab è già stato utilizzato da centinaia di migliaia di pazienti in tutto il mondo, compresi i pazienti con dermatite atopica o con altre patologie scatenate dall'infiammazione di tipo 2 come l'asma e adulti con rinosinusite cronica con poliposi nasale. Siamo lieti di poter rendere disponibile questo farmaco che cambia il paradigma di gestione di queste patologie anche ai pazienti europei più giovani che necessitano di nuove opzioni oltre agli steroidi o agli immunosoppressori.”*

Risultati degli studi registrativi

La decisione della Commissione Europea si basa principalmente su dati che includono i risultati di uno studio registrativo di fase 3 di valutazione dell'efficacia e della sicurezza di dupilumab in associazione con corticosteroidi topici (TCS) rispetto ai soli TCS (placebo) in bambini di età compresa tra 6 e 11 anni con dermatite atopica grave. A 16 settimane, i pazienti nel gruppo di trattamento con dupilumab in aggiunta a TCS hanno mostrato:

- Miglioramento dell'estensione e della gravità della malattia:
- *Clearance* della pelle
- Riduzione del prurito
- Miglioramento della qualità di vita correlata alla salute (HR-QoL)

Il profilo di sicurezza di dupilumab in bambini con età compresa tra 6 e 11 anni, seguiti fino al termine della settimana 52 sulla base di un'estensione in aperto dello studio, è stato analogo a quanto osservato alla settimana 16 e in linea con il profilo di sicurezza visto in adulti e adolescenti con dermatite atopica. Gli AEs comunemente osservati nei pazienti trattati con dupilumab includevano infezioni delle vie aeree superiori, reazioni nel sito di iniezione, rinofaringite, congiuntivite e febbre. Altri AEs prespecificati includevano infezioni cutanee, e infezioni virali da herpes.

Lo studio clinico in pazienti pediatrici

Gli endpoint co-primari dello studio erano *clearance* della pelle, misurata con un punteggio di 0 o 1 rispetto all'Investigator's Global Assessment (IGA), e l'estensione e gravità della malattia, misurate in base all'Eczema Area and Severity Index (EASI-75).

Gli endpoint secondari includevano la variazione media nel punteggio EASI dal basale, e il prurito misurato come almeno una riduzione di 4 punti dell'intensità del prurito su una scala 0-10 (media settimanale della Peak Pruritus Numerical Rating Scale giornaliera). Inoltre, la HR-QoL è stata valutata in base alla percentuale di pazienti che ha raggiunto almeno sei punti rispetto al Children's Dermatology Life Quality Index (CDLQI) riferito dal paziente, così come misure aggiuntive dal Patient Oriented Eczema Measure (POEM) e dallo SCORing Atopic Dermatitis (SCORAD).

Dupilumab

Dupilumab è approvato per il trattamento di specifiche popolazioni di pazienti con dermatite atopica, asma e/o per il trattamento di pazienti adulti con rinosinusite cronica con poliposi nasale in diversi Paesi nel mondo, inclusi Unione Europea, Stati Uniti e Giappone. Dupilumab è oggi approvato in oltre 60 Paesi e più di 200.000 pazienti sono stati trattati con dupilumab a livello mondiale.

In **Italia**, dupilumab è indicato per il trattamento di pazienti **adulti con dermatite atopica da moderata a grave**, candidati alla terapia sistemica, ed è stato ammesso a rimborsabilità dal SSN a settembre 2018, ricevendo da parte dell'Agenzia Italiana del Farmaco il riconoscimento di **farmaco innovativo**. È inoltre in attesa di rimborsabilità per l'asma grave con infiammazione di tipo 2 in adulti e adolescenti (dai 12 anni), per la rinosinusite cronica con poliposi nasale negli adulti e per la dermatite atopica negli adolescenti (12-17 anni).

Il programma di sviluppo clinico di dupilumab

A oggi, dupilumab è stato studiato in oltre 10.000 pazienti in 50 studi clinici per diverse patologie croniche causate da infiammazione di tipo 2. In aggiunta alle indicazioni approvate, Sanofi e Regeneron stanno studiando dupilumab in una vasta gamma di patologie mediate dall'infiammazione di tipo 2 o da altri processi di tipo allergico. Tra queste, la dermatite atopica pediatrica (da 6 mesi a 5 anni, fase 3), l'asma pediatrico (6 - 11 anni; fase 3), l'esofagite eosinofila (fase 3), la broncopneumopatia cronica ostruttiva (fase 3), il pemfigoide bolloso (fase 3), la prurigo nodularis (fase 3), l'orticaria cronica spontanea (fase 3) e allergie alimentari e ambientali (fase 2). Questi utilizzi potenziali sono tutt'ora in studio pertanto la sicurezza e l'efficacia di dupilumab in queste indicazioni non è ancora stata sottoposta alla valutazione delle autorità regolatorie. Dupilumab è sviluppato congiuntamente da Sanofi e Regeneron nell'ambito di un accordo di collaborazione globale.

Regeneron Pharmaceuticals, Inc

Regeneron (NASDAQ: REGN) è una delle principali aziende biotecnologiche, specializzata nella scoperta di farmaci che trasformano la vita delle persone colpite da gravi malattie. Fondata e guidata da oltre 30 anni da medici-scienziati, Regeneron ha la capacità unica di tradurre costantemente e ripetutamente la scienza in medicina. Questa caratteristica ha portato all'approvazione di sette trattamenti da parte della FDA e allo sviluppo di numerosi candidati farmaci, tutti prodotti nei laboratori dell'azienda. I farmaci e la pipeline di Regeneron sono progettati per andare in aiuto di pazienti con malattie degli occhi, patologie allergiche e infiammatorie, tumori, patologie cardiache e metaboliche, dolore, malattie infettive e malattie rare. Regeneron sta accelerando e migliorando il tradizionale processo di sviluppo dei farmaci grazie alle tecnologie proprietarie della piattaforma VelociSuite®, come VelocImmune® che utilizza topi umanizzati geneticamente per produrre anticorpi ottimizzati completamente umani e anticorpi bispecifici, e ad ambiziose iniziative di ricerca come il Regeneron Genetics Center, che sta portando avanti uno dei più

grandi progetti di sequenziamento genico al mondo. Per maggiori informazioni www.regeneron.com oppure @Regeneron su Twitter.

Sanofi

Sanofi aiuta le persone nelle loro sfide di salute. Siamo una società farmaceutica globale focalizzata sulla salute delle persone. Preveniamo le malattie con i vaccini, forniamo trattamenti innovativi per combattere il dolore e alleviare la sofferenza. Siamo accanto alle malattie rare così come ai milioni di persone in condizioni croniche.

Con oltre 100.000 persone in 100 Paesi, Sanofi trasforma l'innovazione scientifica in soluzioni di salute in tutto il mondo.

Sanofi, Empowering Life

Ufficio Stampa

Elena Santini - elena.santini@sanofi.com - 335 6084016

Alice Manfredini - alice.manfredini@sanofi.com - 366 6727323



www.sanofi.it



[@SanofiIT](https://twitter.com/SanofiIT)



www.facebook.com/SanofiItalia



[sanofi_italia](https://www.instagram.com/sanofi_italia)