

La FDA approva sutimlimab-jome, il primo trattamento per l'anemia emolitica autoimmune da agglutinine fredde

- Sutimlimab è l'unico trattamento approvato al fine di ridurre la necessità di trasfusione di globuli rossi a causa dell'emolisi (la distruzione dei globuli rossi) in soggetti adulti affetti da crioagglutinine (o anemia emolitica da agglutinine fredde – CAD, *Cold Agglutinin Disease*)
- Sutimlimab risponde a una grave e cronica necessità medica insoddisfatta per gli adulti che vivono con la CAD, una rara malattia del sangue

Milano, 8 febbraio 2022. La Food and Drug Administration (FDA) statunitense ha approvato il trattamento con sutimlimab-jome per ridurre la necessità di trasfusioni di globuli rossi in soggetti adulti affetti da anemia emolitica da agglutinine fredde (CAD). sutimlimab è il primo e unico trattamento approvato per le persone con CAD e funziona inibendo la distruzione dei globuli rossi.

Bill Sibold

Executive Vice President, Head of Specialty Care

"Ad oggi, chi vive con anemia emolitica da agglutinine fredde non aveva alcuna opzione di trattamento approvata per gestire la costante distruzione dei globuli rossi. Senza globuli rossi sani e vitali, si può innescare una reazione a catena di segni e sintomi debilitanti, a partire da una grave anemia. Sutimlimab è l'unico trattamento approvato in grado di inibire la distruzione dei globuli rossi nella CAD e aiutare a fermare la reazione a catena dall'inizio".

L'anemia emolitica da agglutinine fredde (CAD) è una rara forma di anemia emolitica autoimmune, causata da anticorpi chiamati agglutinine fredde che si legano alla superficie dei globuli rossi. Questo avvia un processo che induce il sistema immunitario del corpo ad attaccare erroneamente i globuli rossi sani e causare la loro rottura (emolisi). Poiché i globuli rossi hanno il compito vitale di trasportare l'ossigeno in tutto il corpo, i pazienti con CAD possono sperimentare una grave anemia, che può provocare stanchezza, debolezza, mancanza di respiro, sensazione di testa leggera, dolore al petto, battito cardiaco irregolare e altre potenziali complicazioni. Il CAD è un disturbo cronico e raro del sangue che ha un impatto sulla vita di circa 5.000 persone negli Stati Uniti.

Sutimlimab inibisce il C1s del complemento

Sutimlimab è un anticorpo monoclonale umanizzato progettato per colpire e inibire selettivamente il componente C1s nella via classica del complemento, un sistema di proteine plasmatiche che fa parte del sistema immunitario innato. Bloccando C1s, sutimlimab inibisce l'attivazione della via classica del complemento nel sistema immunitario e inibisce l'emolisi attivata da C1 nel CAD per prevenire la distruzione anomala dei globuli rossi sani. Sutimlimab non inibisce la via della lectina e quella alternativa del complemento.

L'approvazione di sutimlimab si basa sui risultati dello studio registrativo di fase 3 CARDINAL

L'approvazione di sutimlimab negli Stati Uniti è basata sui risultati positivi ottenuti dallo studio registrativo di fase 3 a braccio singolo e in aperto a 26 settimane in pazienti con CAD (n=24) che hanno una storia recente di trasfusione di sangue, noto anche come studio CARDINAL.

Catherine Broome, MD

Associate professor of medicine at Georgetown University Lombardi Comprehensive Cancer Center, e principale investigatrice dello studio CARDINAL

"Nei soggetti affetti da anemia emolitica da agglutinine fredde, è come se il sistema immunitario facesse una guerra contro l'organismo stesso. L'inesorabile distruzione dei globuli rossi sani è per i pazienti una realtà quotidiana e silenziosa. Per la prima volta, abbiamo un trattamento che mira all'emolisi mediata dal complemento, che è la causa sottostante alla distruzione dei globuli rossi in molti pazienti CAD. Nello studio registrativo, i pazienti trattati con sutimlimab hanno avuto un miglioramento dell'anemia misurata dai livelli di emoglobina e bilirubina nelle 26 settimane dello studio".

Nello studio, sutimlimab ha soddisfatto il suo endpoint primario di efficacia, che era un endpoint composito definito come la proporzione di pazienti che raggiungevano la normalizzazione del livello di emoglobina (Hgb) ≥ 12 g/dL o un aumento dal basale del livello di Hgb ≥ 2 g/dL al punto temporale di valutazione del trattamento (valore medio dalle settimane 23, 25 e 26) senza nessuna trasfusione di sangue e senza assumere farmaci vietati dal protocollo dalla settimana 5 alla 26. Anche gli endpoint secondari dello studio sono stati soddisfatti, compresi i miglioramenti dell'emoglobina e la normalizzazione del livello di bilirubina.

- La maggior parte dei pazienti ha soddisfatto i criteri dell'endpoint primario composito con più della metà dei pazienti che ha raggiunto un'emoglobina ≥ 12 g/dl o un aumento di almeno 2 g/dl; due terzi dei pazienti sono rimasti senza trasfusioni dopo la quinta settimana; e la quasi totalità dei pazienti non ha utilizzato altri trattamenti correlati alla CAD.

Nello studio CARDINAL, le reazioni avverse più comuni che si sono verificate nel 10% o più dei pazienti sono state infezioni del tratto respiratorio, infezioni virali, diarrea, dispepsia, tosse, artralgia, artrite ed edema periferico. In una bassa percentuale di pazienti che hanno ricevuto sutimlimab sono state riportate reazioni avverse gravi. Queste reazioni avverse gravi erano sepsi streptococcica e infezione della ferita da stafilococco, artralgia e infezione del tratto respiratorio. Nessuna delle reazioni avverse ha portato all'interruzione del trattamento con sutimlimab nello studio. Le interruzioni del dosaggio a causa di una reazione avversa si sono verificate in meno di un quinto dei pazienti trattati con sutimlimab.

Dopo il completamento del periodo di trattamento di 26 settimane dello studio CARDINAL (Parte A), i pazienti idonei hanno continuato ad essere trattati con sutimlimab in uno studio di estensione. Sutimlimab è somministrato per via endovenosa. Sutimlimab ha ricevuto dalla FDA la designazione di *Breakthrough Therapy* e *Orphan Drug*, e la revisione prioritaria, che è riservata ai farmaci che, una volta approvati, rappresenterebbero miglioramenti significativi in termini di sicurezza o efficacia nel trattamento di condizioni gravi. Al di fuori degli Stati Uniti, sutimlimab è stato presentato alle autorità di regolamentazione in Europa e Giappone e le revisioni sono in corso.

Sanofi

Siamo un'azienda della salute, innovativa e globale. È la nostra ragion d'essere a guidarci in ciò che facciamo: sfidare i confini della scienza per migliorare la vita delle persone. In circa 100 Paesi al mondo, siamo impegnati per trasformare la pratica della medicina, l'impossibile in possibile. Lavoriamo per portare opzioni di trattamento potenzialmente in grado di imprimere un cambiamento nella vita dei pazienti e fornire vaccini che proteggano e salvino la vita a milioni di persone in tutto il mondo, mettendo la sostenibilità e la responsabilità sociale al centro delle nostre ambizioni.

Sanofi è quotata all'EURONEXT: SAN e al NASDAQ: SNY

Contatti

Elena Santini | + 00 39 335 6084016 | elena.santini@sanofi.com