Risultati positivi della sperimentazione del farmaco per gli 'Shadow Jumpers', le persone affette da intolleranza alla luce

MELBOURNE, Australia - È stato dimostrato che un nuovo farmaco australiano contribuisce a proteggere i pazienti affetti da una malattia genetica rara che rende la loro pelle sensibile alla luce e ai raggi ultravioletti, e che li obbligava in precedenza a vivere al riparo dalla luce.

I risultati pubblicati oggi della sperimentazione di Fase III per il medicinale SCENESSE®, condotta da Clinuvel Pharmaceuticals con sede a Melbourne, hanno mostrato che il medicinale ha la capacità di ridurre e prevenire le dolorose reazioni foto-tossiche che riscontrano i pazienti affetti da protoporfiria eritropoietica (EPP).

Lo studio europeo e australiano di 12 mesi del SCENESSE® (nome generico: afamelanotide), è il primo studio su larga scala di un medicinale preventivo per i pazienti affetti da EPP, che è definita "malattia orfana" a causa della sua rarità e gravità. Clinuvel ha dovuto sviluppare una nuova metodologia di studio con gli esperti internazionali di EPP per essere in grado di valutare con successo SCENESSE® come trattamento profilattico.

L'EPP è caratterizzata da un dolore intollerabile: la pelle dei pazienti brucia, compaiono bolle e cicatrici in seguito all'esposizione a normali livelli di luce e di sole. La malattia non è curabile e ha un profondo effetto sulla qualità di vita dei pazienti. Di conseguenza, i pazienti affetti da EPP sono costretti a vivere in ambienti chiusi o a fare il 'salto da ombra a ombra' quando sono all'aperto, e vivendo quindi in modo da non esporre la loro pelle ai raggi di luce. Si stima che 10.000 siano le persone in tutto il mondo affette da EPP.

“La porfiria è una malattia molto grave che causa enorme dolore nei pazienti quando la loro pelle viene esposta, anche brevemente, alla luce, quindi cambia la qualità della loro vita, ha detto il dott. Gianfranco Biolcati, esperto mondiale per questa malattia e responsabile del Centro per le Porfirie dell'Istituto Dermatologico S. Gallicano, IFO di Roma, dove 22 pazienti sono stati sottoposti a trattamento con SCENESSE® durante la sperimentazione. “Fino ad ora non era stato ancora trovato alcune trattamento efficace per l'EPP”.

L'analisi dei risultati dello studio Clinuvel hanno mostrato che il trattamento SCENESSE® riduce in maniera significativa la media quotidiana di intensità del dolore provata dai pazienti affetti da EPP rispetto al placebo.

Ulteriori risultati suggeriscono che il trattamento con SCENESSE® ha permesso ai pazienti di esporre la pelle alla luce del sole e passare più tempo all'esterno; un risultato questo senza precedenti nei casi di EPP. Fattore ancora più importante, tutti i pazienti senza seri problemi per la sicurezza verso i trattamenti hanno ben tollerato SCENESSE®. I risultati completi dello studio saranno presentati durante il 19° Congresso dell'Associazione europea di Dermatologia e Venereologia a Göteborg, Svezia, nel mese di ottobre.

“Sin dall'inizio del trattamento con SCENESSE®, abbiamo riscontrato dei netti miglioramenti nelle capacità dei pazienti, affetti da EPP, di condurre delle vite normali, senza dover temere il dolore per l'esposizione al sole”, ha detto il dott. Biolcati. “Come medico, questa esperienza costituisce per me una grande soddisfazione e una ricompensa”.

“Abbiamo matematicamente dimostrato ciò che avevamo già appreso dai rapporti anedottici provenienti dalle nostre cliniche: SCENESSE® ha un grande potenziale di poter aiutare quei pazienti con una vera necessità medica di essere protetti dai raggi UV e dalla luce”, ha detto il dott. Hank Agersborg, Funzionario scientifico capo di Clinuvel. “L'aspetto forse ancora più importante è che abbiamo visto che il medicinale è sicuro per questi pazienti a lungo termine”.

Il CEO di Clinuvel, il dott. Philippe Wolgen, ha dichiarato che i risultati sono stati molto positivi per i pazienti di EPP e per il programma generale della società per SCENESSE®.

“Siamo sicuri di essere in grado di presentare un dossier adeguato per la revisione normativa. Il consiglio d'amministrazione e la direzione si incontreranno durante le prossime settimane per determinare la tempistica ottimale per la presentazione dei documenti”, ha detto il dott. Wolgen.

“Negli ultimi quattro anni e mezzo questo team ha mostrato una diligenza e una prudenza nelle modalità di lavoro, e un approccio verso problemi complessi, e lo stesso approccio sarà applicato nel processo europeo e americano di presentazione dei documenti per garantire che avremo la massima opportunità di successo per i pazienti affetti da EPP e per i nostri investitori”. Ha detto il dott. Wolgen.

- Fine -

Nota dell'editore: la pubblicazione completa dei risultati di questo studio, che includono l'importanza statistica dei dati numerici può essere trovata all'indirizzo http://www.clinuvel.com

Il testo originale del presente annuncio, redatto nella lingua di partenza, è la versione ufficiale che fa fede. Le traduzioni sono offerte unicamente per comodità del lettore e devono rinviare al testo in lingua originale, che è l'unico giuridicamente valido.

Contacts :
Australia : Lachlan Hay, Responsabile rete globale e comunicazioni, Tel. : +61 3 9660 4990
Europa : Daniela Schaefer, Responsabile operazioni commerciali Europa, Tel. : +41 44 253 7500
Email : investorrelations@clinuvel.com