

Dompé annuncia la designazione di farmaco orfano per rhNGF nel trattamento della cheratite neurotrofica da parte della Food and Drug Administration (FDA)

- *Il candidato farmaco, messo a punto in Italia presso i laboratori aquilani del Gruppo biofarmaceutico, trae origine dalle ricerche del Premio Nobel Rita Levi Montalcini.*
- *La cheratite neurotrofica è una patologia rara, che colpisce meno di una persona su 5000¹ nel mondo e attualmente non dispone di terapie mirate.*
- *Lo studio REPARO è in corso in 39 centri di 9 Paesi europei e mira a valutare sicurezza ed efficacia di rhNGF.*
- *Sia la FDA, sia l'agenzia regolatoria europea (EMA), avevano già attribuito a rhNGF lo status di farmaco orfano per il trattamento della retinite pigmentosa, altra patologia oftalmica attualmente senza cura.*
- *Dompé, tra le principali aziende biofarmaceutiche italiane e presente negli U.S. con una subsidiary a New York, è impegnata inoltre nello sviluppo di terapie innovative per altre patologie rare ed orfane di cura in Diabetologia, Trapianto d'organo e Oncologia.*

New York City, 23 luglio 2014. Dompé, azienda leader nella ricerca di nuove soluzioni terapeutiche per il trattamento delle patologie rare, annuncia la designazione di farmaco orfano (Orphan Drug Designation) per rhNGF (Nerve Growth Factor ricombinante umano), da parte della statunitense Food and Drug Administration (FDA).

Il candidato farmaco, sviluppato dalla ricerca Dompé, è stato designato come farmaco orfano per il trattamento della cheratite neurotrofica, patologia degenerativa della cornea che colpisce meno di una persona su cinquemila¹ ed è attualmente orfana di cura. È la seconda designazione di farmaco orfano da parte della FDA per rhNGF, dopo quella recente per il trattamento nella retinite pigmentosa, patologia rara di origine genetica che colpisce oltre 1 milione di persone nel mondo².

Il riconoscimento rappresenta un passo importante nel percorso di sviluppo clinico del farmaco, attualmente in fase di sperimentazione avanzata nel trattamento della cheratite neurotrofica nell'ambito dello studio REPARO. Lo studio, randomizzato e mascherato, interessa 39 centri in 9 Paesi europei (Italia, Gran Bretagna, Germania, Francia, Belgio, Spagna, Portogallo, Polonia, Ungheria) e coinvolge pazienti affetti da cheratite neurotrofica monolaterale con lesioni di livello 2 (difetto epiteliale persistente) o di livello 3 (ulcera corneale) che non rispondono ai trattamenti

¹ Sacchetti M., Lambiase A., *Diagnosis and management of neurotrophic keratitis*. Clinical Ophthalmology 2014; 8: 571-579.

² Fonte: Anasagasti A, Irigoyen C, Barandika O et al., *Current mutation discovery approaches in retinitis pigmentosa*, Vision Res. 2012; 75: 117-129.

medici attualmente disponibili. L'obiettivo del trial è valutare sicurezza, tollerabilità ed efficacia di due diversi dosaggi del fattore di crescita nervoso ricombinante umano (rhNGF), in confronto a placebo. Gli oltre 170 pazienti previsti nello studio sono divisi in tre diversi gruppi, trattati rispettivamente con rhNGF ai due diversi dosaggi o con placebo. Tra gli obiettivi secondari vi sono la valutazione della guarigione delle lesioni corneali, il miglioramento dell'acuità visiva e della sensibilità della cornea.

*“Siamo particolarmente orgogliosi di questa nuova designazione dell’FDA, che rappresenta un riconoscimento importante per il nostro percorso di Ricerca&Sviluppo in ambito oftalmologico su scala globale, con particolare attenzione al Nord America - spiega **Eugenio Aringhieri, CEO del Gruppo Dompé**. Si tratta di una ulteriore conferma del costante dialogo con le agenzie regolatorie internazionali, al fine di porre al centro temi di salute ancora aperti e possibili soluzioni terapeutiche nell’ambito di patologie ad oggi orfane di cura. È in questa direzione che si pone l’impegno del nostro Gruppo, focalizzato sull’individuazione di farmaci innovativi a tutela dei Pazienti nel mondo”.*

rhNGF nasce da uno specifico progetto di ricerca presso il Centro di Ricerca & Sviluppo Dompé dell’Aquila, e viene prodotto attraverso la tecnologia del DNA ricombinante, ovvero attraverso il trasferimento in un batterio di materiale genetico umano, con il batterio stesso che diventa in grado di produrre NGF, del tutto identico a quello naturalmente prodotto dall’organismo umano.

About rhNGF

rhNGF, il fattore di crescita nervosa ricombinante umano messo a punto da Dompé, è identico alla proteina che viene naturalmente prodotta dall’organismo e che favorisce lo sviluppo e la sopravvivenza delle cellule nervose, comprese quelle della retina. NGF (Nerve Growth Factor) è stato scoperto da Rita Levi Montalcini, che per i suoi studi ha avuto il premio Nobel per la medicina e la fisiologia nel 1986. La proteina stimola la crescita, il mantenimento e la sopravvivenza delle cellule nervose, oltre che della cornea anche della retina. La cornea in particolare ha un’innervazione particolarmente diffusa circa quattrocento volte più della stessa pelle. Il trattamento con soluzione oftalmica a base di rhNGF punta a ristabilire l’innervazione dell’area corneale che è stata compromessa dalla malattia e a consentire un recupero della funzione visiva. Per il suo innovativo meccanismo d’azione, rhNGF potrà in futuro trovare spazio anche in altre forme di neuropatie ottiche, come appunto la retinite pigmentosa, nel trattamento del glaucoma e della sindrome dell’occhio secco.

Cheratite neurotrofica

La cheratite neurotrofica è una grave malattia rara degenerativa dell’occhio, oggi ancora orfana di cura, caratterizzata da un danno progressivo della cornea, che può determinare la sua perforazione, con conseguente perdita della vista. Può essere causata da diverse condizioni cliniche oculari come infezioni corneali erpetiche (herpes zoster e simplex), interventi chirurgici oculari, l’abuso di farmaci topici, l’uso di lenti a contatto, o ancora da condizioni sistemiche quali il diabete o la carenza di vitamina A. Colpisce meno di una persona su 5.000 nel mondo.



About Dompé

Dompé è una delle principali aziende biofarmaceutiche in Italia, focalizzata sullo sviluppo di soluzioni terapeutiche innovative per malattie ad alto impatto sociale, spesso orfane di cura. Con sede in Italia, Dompé ha il proprio quartier generale a Milano e concentra il proprio impegno in Ricerca in aree con bisogni terapeutici ancora insoddisfatti quali il diabete, il trapianto d'organo, l'oftalmologia, e l'oncologia. Il polo industriale dell'Aquila (Abruzzo) ospita un impianto biotecnologico d'eccellenza nel mondo e sviluppa farmaci per la Primary Care destinati ai mercati di 30 paesi nel mondo. Nel 2013, Dompé ha aperto una subsidiary negli Stati Uniti.

Per maggiori informazioni: www.dompe.com

Forward looking statements

Il presente comunicato stampa fa riferimento ad alcune informazioni che potrebbero non collimare con i futuri risultati attesi. Dompé crede fermamente nella solidità e nella ragionevolezza dei concetti espressi, tuttavia alcune delle informazioni sono soggette a un margine di indeterminatezza, proprio delle attività di ricerca e sviluppo e delle opportune verifiche da parte degli enti regolatori. Pertanto, all'oggi, Dompé non può garantire l'aderenza dei risultati attesi rispetto a quanto sopraindicato.

CONTACTS

Alessandro Aquilio

Public Affairs & Corporate Communications Manager

Email: alessandro.aquilio@dompe.it

+39 02 58383 556

+39 334 6550628

Ufficio stampa

CBO Communication by Objective

Maria Pace Medolago Albani – mariapace.medolago@cbopr.com

+ 39 02 85458311

