



Соопштение

РОШ Македонија ДООЕЛ СКОПЈЕ
Деловен Центар Сити Плаза
Ул. Св. Кирил и Методиј бр. 7, кат 2
1000 Скопје Македонија
Тел. 02 3103 500
Факс. 02 3 103 505

Скопје, 06 февруари 2017 година

Лекот emicizumab ја исполнил примарната крајна цел во фаза III студија кај пациенти со хемофилија А

- Кај пациенти со хемофилија А и инхибитори на факторот VIII, профилаксата со emicizumab го намалила бројот на крвавења со тек на време во споредба со пациентите кои не примале профилакса

„Рош“ неоддамна објави дека примарната крајна цел на фаза III студијата HAVEN 1 е постигната. Студијата ја проценувала користа од профилаксата со emicizumab кај лица на возраст од 12 години или постари со хемофилија А и инхибитори на факторот VIII. Студијата покажала статистички значајно намалување на бројот на крвавења со тек на време кај лица кои примале профилакса со emicizumab во споредба со лицата кои не примале профилакса. Студијата, исто така, ги постигнала сите секундарни крајни цели, вклучувајќи и статистички значајно намалување на бројот на крварења со тек на време кај лица кои примале профилакса со emicizumab во споредба со лица кои примале претходно профилактични агенси за заобиколувања. Најчестите несакани дејства со emicizumab биле реакции на местото на инјектирање, во согласност со безбедносниот профил виден во други студии.

"Развојот на инхибиторите поради кои третманот со заменски фактор VIII е помалку ефикасен, или неефикасен, е еден од најголемите предизвици во третман на хемофилија А денес, додека пациентите се со висок ризик за живото-загрозувачки крвавења и повторувачки крвавења кои може да предизвикаат долгорочни оштетувања на зглобовите", изјави д-р Сандра Хорнинг, Главен медицински директор и Шеф за одделот за развој на производи на Рош. "Ние сме задоволни дека, нашата прва регистрациона студија, профилаксата со emicizumab значително го намалила бројот на крвавења со тек на време кај лица кои тешко се лекуваат. Со нетрпение очекуваме да работиме заедно со здравствените власти со цел да го воведеме овој третман што е можно поскоро за пациентите со хемофилија."

"Од средината на 1990-тите, има постепени подобрувања на третманот на хемофилијата А со инхибитори", вели Алан Бауман, Главен извршен директор на Светската федерација на хемофилија. "Сегашниот товар на третманот е голем.

РОШ Македонија ДООЕЛ
Скопје

Деловен центар *Сити плаза*
Ул. Св. Кирил и Методиј 7
1000 Скопје
Македонија

Тел. +389 2 3103 500
Факс +389 2 3103 505
www.roche.mk

Светската федерација на хемофилија поддржува истражувања кои би можеле да доведат до нови терапевтски агенци и да понудат нова третманска опција за пациентите со инхибитори. Остварувањето на оваа потреба ќе биде значаен напредок во нашата потрага за *Третман за Сите* вклучувајќи ги и оние кои живеат со инхибитори."

Како што беше претходно објавено, двајца пациенти имале тромбоемболиски настани и двајца пациенти развиле тромботична микроангиопатија (ТМА). Заедничкиот аспект на сите случаи на тромбоемболија и ТМА е дека тие се јавиле кај пациенти кои биле на профилакса со еmicizumab и примале концентрат на протромбински комплекс за лекување на обилни крварења. За ниту еден тромбоемболиски настан не била потребна анти-коагулантна терапија и кај еден пациент третманот со еmicizumab бил повторно започнат. Двата случаи на ТМА биле комплетно решени и кај еден пациент третманот со еmicizumab бил повторно започнат.

HAVEN 1 е првата фаза III студија во програмата на клинички развој на еmicizumab која ги објавила резултатите. Податоците од студијата ќе бидат презентирани на претстојните медицински состаноци и доставени до здравствените власти низ светот за разгледување за доделување на одобрение.

За студијата HAVEN 1 (BH29884)

HAVEN 1 е рандомизирана, мултицентрична, отворена, фаза III студија која ја проценува ефикасноста, безбедноста и фармакокинетиката на еmicizumab како профилакса наспроти плацебо (без профилакса) кај лица со хемофилија А и инхибитори на факторот VIII. Студијата вклучила 109 пациенти со хемофилија А (на 12 години или постари) со инхибитори на факторот VIII, кои претходно биле третирани со епизодни или профилактични агенци. Пациентите претходно третирани со епизодни агенци биле рандомизирани во сооднос 2:1 да примаат профилакса со еmicizumab (гранка А) или без профилакса (гранка Б). Пациентите претходно третирани со профилактични агенци за заобиколување примале профилакса со еmicizumab (гранка В). Епизодниот третман на обилни крвавења со агенци за заобиколување бил дозволен според протоколот. Примарната крајна цел на студијата бил број на крвавења во тек на времето при профилакса со еmicizumab (гранка А) наспроти без профилакса (гранка Б). Секундарни крајни цели вклучувале: сите стапки за крвавење, заедничка стапка на крвавење, стапка на спонтани крвавења, целна заедничка стапка на крвавење, квалитет на живот поврзан со здравјето/здравствена состојба, споредба со стапка на крвавење кај еден пациент со претходни профилактични агенци за заобиколување (гранка Ц) и безбедноста.

За еmicizumab (ACE910)

Еmicizumab е биспецифично моноклонално антители во фаза на испитување дизајнирано да ги спои факторите IXa и X, протеини потребни за да се активира природната коагулациска каскада и да се воспостави повторно процесот на коагулација на крвта. Еmicizumab може да се дава преку подкожна (субкутана) инјекција на претходно подготвен раствор еднаш неделно. Еmicizumab бил

испитуван во регистрациона фаза III студија кај лица од 12 години и постари, со и без инхибитори на факторот VIII, и кај деца под 12 годишна возраст со инхибитори на факторот VIII. Идните студии ќе се обидат да истражат поретки режими на дозирање. Програмата за развој на лекот emicizumab го оценува нејзиниот потенцијал за надминување на тековните клинички предизвици, како што се краткотрајните ефекти на постоечките третмани, развојот на инхибитори на факторот VIII и потребата за чест венски пристап. Emicizumab е откриен од страна на Chugai Pharmaceutical Co., Ltd. и создаден помеѓу Chugai, Roche и Genentech.

За хемофилија А

Хемофилија А е наследно, сериозно заболување во кое крвта на пациентот не се згрутчува соодветно, што води кон неконтролирано и често спонтано крвавење. Хемофилија А засега околу 320.000 лица низ целиот свет^{1,2}, од кои околу 50-60% од нив имаат тешка форма на болеста.³ Лицата со хемофилија А имаат недостаток или отсуство на протеин на коагулација, таканаречен фактор VIII. Кај здрави лица, кога ќе настане крвавење, факторот VIII ги соединува факторите на коагулација IXa и X, што претставува критичен фактор во формирањето на коагулум со цел да сопре крвавењето. Сериозна компликација во тек на третманот со фактори на коагулација е развој на инхибитори на факторот VIII.⁴ Инхибиторите се антитела создадени од имуниот систем кои се врзуваат и ја блокираат ефикасноста на заменскиот фактор за коагулација VIII⁵, со што е тешко, или невозможно да се добие ниво на фактор VIII доволно за контрола на крвавењето.

„Рош“ во хематологија

Пред повеќе од 20 години, „Рош“ започна со развојот на лекови што го менуваат третманот на повеќе хематолошки заболувања. Денес, „Рош“, инвестира повеќе од кога било во обидот да пронајде иновативни третмански опции за луѓето со хематолошки заболувања. Како дополние на одобрените лекови MabThera (rituximab), Gazyva (obinutuzumab), Venclexta (venetoclax) во соработка на Abbvie, во „Рош“ се работи на подготовка на потенцијални хематолошки лекови, кои вклучуваат Tecentriq (atezolizumab), антитело-лек конјугат anti-CD79b (polatuzumab vedotin/RG7596) и мала молекула антагонист на MDM2 (idasanutlin/RG7388). „Рош“ е посветен на откривање на нови молекули не само за третман на хематолошките заболувања туку и за третман на хемофилија А, emicizumab ACE910.

За „Рош“

„Рош“ е светски лидер во истражувањата фокусирани кон заштита на здравјето, како во полето на фармацијата така и во дијагностиката.

„Рош“ е светска најголема биотехнолошка компанија со вистински диференцирани производи во областа на онкологија, имунологија, вирусологија, офталмологија како и заболувања на централниот нервен систем. „Рош“, исто така е светски лидер во in-vitro дијагностиката, ткивната дијагностика за канцер и пионер во справувањето со дијабетесот. Комбинацијата од фармацевтски производи и дијагностика под еден

покрив го направија „Рош“ лидер во персонализираната медицина – стратегија чија цел е да се одбере вистинскиот третман за секој пациент поодделно на најдобар можен начин.

Основана 1896 година, „Рош“ и понатаму продолжува да бара подобри начини на превенција, дијагноза и лекување на заболувањата и да даде одржлив придонес во општеството. Дваесет и девет лека пронајдени од „Рош“, антибиотици, антималярици и лекови за малигни болеси, се вклучени во модел листата на значајни лекови на Светската здравствена организација. „Рош“ осум години по ред го добива признанието Лидер во групата за одржливост во фармацевтската и биотехнолошката индустрија од Down Jones индексот.

Групацијата Рош, со седиште во Базел, Швајцарија, е активна во повеќе од 100 земји и во 2015 година во неа работела повеќе од 91.700 лица во светот. Во 2015 година, групацијата Roche имаше над 88.500 вработени во светот и инвестирале 9,3 милијарди швајцарски франци во истражувања и развој. Компанијата прикажа продажба од 48,1 милијарди швајцарски франци. [Genentech](#), во Соединетите Американски Држави, е во сопственост на Roche групацијата, која има и мнозински дел од акциите на Chugai Pharmaceutical, Јапонија. Компанијата Рош е присутна во Македонија од 1999 година и вработени се околу 30 лица во областа на лекови и грижа за дијабетесот.

Сите заштитени имиња употребени или споменати во ова соопштение се заштитени со закон.

Референци:

1. WFH. Guidelines for the management of hemophilia. 2012. Пристапено: 21 октомври 2015: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1472.pdf>.
2. Berntorp E, Shapiro AD. Modern haemophilia care. *The Lancet* 2012; 370:1447-1456.
3. Marder VJ, et al. *Hemostasis and Thrombosis. Basic Principles and Clinical Practice*. 6th Edition, 2013. Milwaukee, Wisconsin. Lippincott Williams and Wilkin.
4. Gomez K, et al. Key issues in inhibitor management in patients with haemophilia. *Blood Transfus.* 2014; 12:s319–s329.
5. Whelan SF, et al. Distinct characteristics of antibody responses against factor VIII in healthy individuals and in different cohorts of hemophilia A patients. *Blood* 2013; 121:1039–48.