**PRESS RELEASE**

19 October 2022 09:00 BST/GMT

**Alexion annuncia l’approvazione in rimborsabilità di eculizumab** **in Italia negli adulti con Miastenia Gravis Generalizzata (gMG)**

Eculizumab ha dimostrato miglioramenti clinicamente significativi nelle attività della vita quotidiana e nella forza muscolare dei pazienti affetti da gMG refrattaria AChR+ rispetto al placebo1.

19 ottobre 2022 – Alexion Pharma Italy srl, azienda Rare Disease del Gruppo AstraZeneca, annuncia oggi che l’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha approvato la rimborsabilità di eculizumab, un inibitore della proteina C5 del complemento, nei pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata (gMG) refrattaria (non rispondente a corticosteroidi ed altri due immunosoppressori) con positività agli anticorpi anti-recettore dell’acetilcolina (AChR). L’approvazione è stata pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n.210 del 8/9/20222.

La miastenia gravis generalizzata è una patologia rara autoimmune, cronica, debilitante, che interessa la giunzione neuromuscolare e causa perdita della funzione muscolare, portando a crisi miasteniche con potenziale esito fatale3.Si stima che in Italia vi siano circa 12.000 pazienti miastenici4, di cui l'80% presenta anticorpi anti-AChR5; il loro legame alla giunzione neuromuscolare attiva il sistema del complemento, che causa distruzione della membrana post-sinaptica, interrompendo la comunicazione nervo-muscolo e provocando una cronica debolezza muscolare6. I sintomi più comuni della malattia sono la visione doppia, ptosi palpebrale, problemi alla masticazione e deglutizione, difficoltà ad articolare il linguaggio, affaticamento muscolare cronico e disturbi respiratori, nei casi più gravi si può manifestare una crisi respiratoria con necessità di ventilazione assistita8.

“Gli studi clinici hanno dimostrato che eculizumab, inibendo il sistema del complemento, previene la distruzione della giunzione neuromuscolare e riduce i sintomi di debolezza e affaticamento7. - afferma il **Dr. Renato Mantegazza, del Dipartimento di Neuroimmunologia e Malattie Neuromuscolari dell'Istituto Besta di Milano -** Nello studio registrativo REGAIN, eculizumab ha dimostrato miglioramenti clinicamente significativi nelle attività della vita quotidiana e nella forza muscolare dei pazienti affetti da gMG refrattaria AChR+ rispetto al placebo1. Il miglioramento è stato osservato già alla prima settimana, mantenendosi stabile per tutto il periodo di trattamento. Inoltre, al termine dello studio di estensione (130 settimane), oltre il 50% dei pazienti ha raggiunto lo stato di *minime manifestazioni di malattia,* definito come l’assenza di sintomi disabilitanti9.”

“Il nostro obiettivo è quello di rendere questi trattamenti più facilmente disponibili per i pazienti e in modo tempestivo - dichiara **il prof. Andrea Lenzi, Ordinario di Endocrinologia alla Sapienza di Roma** – Eculizumab è rimborsato in Italia per un sottogruppo di persone con miastenia gravis generalizzata refrattaria, non rispondente ad almeno 2 trattamenti immunosoppressori utilizzati dopo corticosteroidi.”

“La malattia colpisce persone nel pieno della loro vita riportando conseguenze non solo sulla loro qualità di vita ma anche sugli aspetti sociali, lavorativi e famigliari. Definire i costi diretti e indiretti di una malattia cronica come la miastenia gravis è fondamentale, sottolinea il **prof. Federico Spandonaro, Università San Raffaele Roma e Presidente di C.R.E.A. Sanità (Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità)**, “Gli strumenti per governare l'innovazione sono disponibili in Italia e permettono una efficace programmazione, a partire dall’Horizon Scanning fino all’accesso ai fondi per i farmaci innovativi. Nelle malattie rare, in particolare, una corretta programmazione deve partire dalla stima del fabbisogno e dalla valutazione degli esiti, sfruttando poi i sistemi informativi nazionali e regionali per produrre nuove evidenze con i Real World Data.”

“Il fondamentale contributo della ricerca e l’innovazione nella cura e gestione delle persone affette da miastenia rappresenta un fondamentale passo in avanti per noi - aggiunge **Mariangela Pino, paziente e segretaria generale della neonata sede laziale dell’Associazione Italiana Miastenia e Malattie Immunodegenerative (AIM).** – questa è una malattia, che spesso sembra invisibile a coloro che non la vivono tutti giorni o che non la conoscono, ma in realtà, come molte patologie croniche, compromette in maniera devastante la qualità di vita, l’attività lavorativa e le relazioni sociali, non solo nostre ma anche di tutti i familiari.”

“Siamo orgogliosi di offrire eculizumab ai pazienti italiani affetti da Miastenia Gravis generalizzata. Questo rappresenta un importante traguardo raggiunto in concomitanza della rimborsabilità dello stesso farmaco anche nell’indicazione del disturbo dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD)2. Questo passo ulteriore rappresenta per noi la realizzazione di ciò per cui lavoriamo ogni giorno: contribuire al miglioramento della vita delle persone affette da malattie rare e disturbi invalidanti.” afferma **Anna** **Chiara Rossi, VP & General Manager Italy, Alexion, AstraZeneca Rare Disease**. “L’impegno della nostra azienda continua, con l’obiettivo di fornire soluzioni che possano migliorare quotidianamente la vita delle persone affette da miastenia grave generalizzata e dei loro caregivers.”

**Note**

**Il Disturbo della Miastenia Grave Generalizzata (gMG)**

La miastenia gravis generalizzata è una patologia rara autoimmune, cronica, debilitante, che interessa la giunzione neuromuscolare e causa perdita della funzione muscolare e grave debolezza3. Si stima che in Italia vi siano circa 12.000 pazienti miastenici4, di cui l'80% presenta anticorpi anti-AChR; il loro legame alla giunzione neuromuscolare attiva il sistema del complemento, che causa distruzione della membrana post-sinaptica, interrompendo la comunicazione nervo-muscolo e provocando una cronica debolezza muscolare6. La Miastenia Gravis Generalizzata può manifestarsi a qualsiasi età, ma più comunemente esordisce nelle donne prima dei 40 anni e negli uomini dopo i 60 anni. I sintomi più comuni della malattia sono la visione doppia, ptosi palpebrale, problemi alla masticazione e deglutizione, difficoltà ad articolare il linguaggio, affaticamento muscolare cronico e disturbi respiratori8.

**Informazioni su Alexion**

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, è un’azienda dedicata alle malattie rare, parte del gruppo AstraZeneca in seguito alla sua acquisizione nel 2021. In qualità di leader nel campo delle malattie rare da circa 30 anni, Alexion è impegnata nella ricerca, sviluppo e distribuzione di terapie innovative capaci di trasformare la vita dei pazienti con malattie rare e disturbi invalidanti e quella delle loro famiglie. Alexion concentra il suo impegno nella ricerca di nuove molecole e di nuovi target nel sistema del complemento, nonché nello sviluppo di aree terapeutiche fondamentali quali l’ematologia, la nefrologia, la neurologia, i disturbi metabolici, la cardiologia e l’oftalmologia. Con sede a Boston, Massachusetts, Stati Uniti, Alexion ha uffici in tutto il mondo e serve pazienti in più di 50 Paesi. Per informazioni: <https://alexion.com/worldwide/Italy>

I**nformazioni su AstraZeneca**

AstraZeneca è un’azienda biofarmaceutica globale impegnata nella ricerca, nello sviluppo e nella commercializzazione di farmaci etici. Ci concentriamo sulla ricerca e puntiamo a essere leader in diverse aree terapeutiche: Oncologia, Malattie rare, Cardiovascolare, Metabolico e Renale, Respiratorio e Immunologico, Infettivologia. In Italia AstraZeneca conta oltre 850 dipendenti e ha investito nel 2021 26,4 milioni di euro in Ricerca e Sviluppo, con più di 100 studi clinici attivi in oltre 500 centri su tutto il territorio nazionale. Per informazioni [www.astrazeneca.it](https://protect-us.mimecast.com/s/3NuFCOYpyVS1XQRTvyEjs?domain=astrazeneca.it/) e su [LinkedIn](https://protect-us.mimecast.com/s/0kARCPNqZXSzmVGc1MyCW?domain=linkedin.com/).

***Note bibliografiche***

1. *Muppidi S. et al. Muscle Nerve. 2019 Jul;60(1):14-24*
2. *Decree N° 596/2022, Official Gazzette n° 210, date: 8/9/2022*
3. *Anil, R., Kumar, A., Alaparthi, S., Sharma, A., Nye, JL., Roy, B., O’Connor, KC., Nowak, R., (2020). J Neurol Sci. 2020 Jul 15;414:116830.*
4. *Salari et al. Journal of Translational Medicine (2021) 19:516*
5. *Gilhus NE et al. Lancet Neurol, 2015; 14: 1023–36*
6. *Conti-Fine et al. J Clin Invest. 2006 Nov;116(11):2843-54*
7. *Howard JF Jr., Ann. N.Y. Acad. Sci. 1412 (2018) 113–128*
8. *Lehnerer (2022) J Neurol (2022) 269:3050–3063*
9. *Mantegazza et al. Neurology. 2021 Jan 26;96(4):e610-e618*

Ufficio stampa

Intermedia

030.226105 – 3888896214 - 335265394

intermedia@intermedianews.it