



**Nuove importanti scoperte pubblicate sul *Lancet*  
supportano l'uso di Respreza® [Inibitore (umano) dell'Alpha1-proteinasi]  
in pazienti affetti da Deficit di Alfa-1 antitripsina (AATD)**

**Marburg, Germania - 1 giugno 2015**

I risultati dello studio RAPID di CSL Behring, il più grande studio controllato mai condotto in pazienti con deficit di alfa-1 antitripsina (AATD), dimostrano che l'uso della terapia a base di Inibitori dell'alpha1-proteinasi (A1-PI) può rallentare la progressiva perdita di tessuto polmonare vissuto da questi pazienti critici. Secondo i risultati di RAPID (Randomized Placebo-controlled Trial of Augmentation Therapy in Alpha-1 Proteinase Inhibitor Deficiency), pubblicato sul *Lancet*, i pazienti con AATD trattati con terapia a base di A1-PI hanno mostrato un tasso annuo inferiore di declino della densità polmonare rispetto al placebo, misurato con tomografia computerizzata del torace, in piena inspirazione.

"RAPID è considerato come uno studio fondamentale di convalida di quasi due decenni di focus sull'endpoint "densità polmonare" come il modo più sensibile per monitorare il declino nel tessuto polmonare, e di sette anni di collaborazione con un team internazionale di ricercatori", ha detto Kenneth R. Chapman, MD, direttore del Centro Asthma & Airway presso l'University Health Network di Toronto, e autore principale dello studio. "I nostri risultati forniscono ulteriori prove che il trattamento con un A1-PI può rallentare la perdita accelerata di tessuto polmonare, caratteristica di questa malattia potenzialmente debilitante."

L'AATD è una condizione ereditaria che può gravemente influenzare la funzione polmonare del paziente. La condizione è caratterizzata da un livello basso o assente di A1-PI, una proteina naturale che inibisce l'elastasi dei neutrofili, impedendo in tal modo la distruzione del tessuto polmonare. La grave carenza di A1-PI è associata a una forte tendenza allo sviluppo di enfisema, una forma di malattia polmonare ostruttiva cronica (BPCO), e può influenzare notevolmente la

vita quotidiana e l'aspettativa di vita. Secondo un recente registro, l'enfisema colpisce il 54% dei pazienti diagnosticati con AATD.

In media, ci vogliono più di sette anni dall'esordio dei sintomi polmonari del paziente prima che venga effettuata una corretta diagnosi. E quasi la metà (43%) dei pazienti vede almeno tre medici prima di essere diagnosticata. Circa il 90% delle persone con AATD non viene diagnosticato o ritiene di essere affetto da altre condizioni, quali asma o BPCO legate al fumo.

"Siamo entusiasti che i risultati di questo importante studio sull'AATD siano stati pubblicati su una rivista di elevato prestigio quale il Lancet", ha dichiarato John Walsh, co-fondatore, Presidente e CEO della Alpha-1 Foundation. "Ci complimentiamo con CSL Behring per il loro straordinario impegno per la comunità AATD e per aver contribuito a far progredire la comprensione ed il trattamento della malattia. Questi risultati supportano ulteriormente l'uso della terapia sostitutiva nel trattamento dell'AATD e speriamo che rafforzino l'impegno della comunità AATD in tutto il mondo per favorire l'accesso alla terapia. "

### **Disegno dello studio e risultati**

Secondo il protocollo dello studio, l'effetto della terapia - a base di A1-PI di CSL Behring - sulla progressione dell'enfisema (l'endpoint primario dello studio), è stata misurata mediante tomografia computerizzata su un periodo complessivo di 24 mesi ed è stata valutata sulla base del tasso annuo di perdita di densità polmonare, calcolata sulla base della combinazione di capacità polmonare totale (TLC) e capacità funzionale residua (FRC). Il tasso annuo di perdita di densità polmonare con TLC e FRC combinati non è risultato statisticamente diverso nel gruppo trattato rispetto al gruppo placebo. Tuttavia, i risultati hanno mostrato una riduzione del 34% del tasso annuale di declino della densità polmonare rispetto al placebo, quando misurato con la sola TLC (o inspirazione piena).

Gravi eventi avversi non sono risultati statisticamente differenti tra i gruppi, con una morte nel gruppo trattato con A1-PI e tre morti nel gruppo placebo.

RAPID è uno studio multicentrico, in doppio cieco, randomizzato, a gruppi paralleli, controllato con placebo che ha confrontato l'efficacia e la sicurezza della terapia a base di A1-PI di CSL Behring con placebo in pazienti con enfisema causato da AATD. I partecipanti, 180 non fumatori

di età compresa tra 18-65, sono stati assegnati in modo casuale a ricevere 60 mg/kg a settimana di A1-PI per via endovenosa o placebo.

### **Respreeza**

Respreeza è una forma altamente purificata di A1-PI (umano) attualmente approvato in Brasile, Nuova Zelanda e Stati Uniti, dove è indicato per la terapia di aumento cronico e mantenimento in pazienti adulti con AATD ed evidenza clinica di enfisema.

CSL Behring è alla ricerca di ulteriori approvazioni in tutto il mondo per questa terapia A1-PI, che è attualmente in fase di revisione con l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA).

Respreeza è controindicato nei pazienti con una storia di grave reazione sistemica al prodotto o alle proteine A1-PI, inclusa l'anafilassi. A causa del rischio di ipersensibilità grave, Respreeza è anche controindicato nei pazienti con deficit di Immunoglobuline A e anticorpi contro le IgA.

### **CSL Behring**

CSL Behring è un leader mondiale nella produzione di proteine plasmatiche per il trattamento di rare e gravi patologie ed è da sempre impegnata nel migliorare la qualità di vita dei pazienti. CSL Behring produce e commercializza in tutto il mondo una vasta gamma di farmaci derivati dal plasma e prodotti con tecnologie ricombinanti.

I farmaci prodotti da CSL Behring vengono utilizzati in tutto il mondo per trattare disordini della coagulazione, tra cui emofilia e malattia di Von Willebrand, immunodeficienza primaria, angioedema e malattie respiratorie ereditarie e, in alcune nazioni, anche patologie neurologiche. I farmaci prodotti da CSL Behring sono inoltre utilizzati in cardiocirurgia, trapianti solidi, trattamento delle ustioni e prevenzione della malattia emolitica del neonato.

CSL Behring è inoltre proprietaria di CSL Plasma, una delle più grandi e sofisticate reti di raccolta plasma al mondo. CSL Behring fa parte del gruppo CSL Limited, multinazionale biofarmaceutica con sede a Melbourne, Australia. Per maggiori informazioni, visitare il sito [www.cslbehring.com](http://www.cslbehring.com).

### **Contatti:**

Jennifer Seiler

CSL Behring

O: 610-878-4802

[jennifer.seiler@cslbehring.com](mailto:jennifer.seiler@cslbehring.com)