*Komunikat dla mediów i inwestorów*

**FDA zatwierdza lek satralizumab firmy Roche do leczenia chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD)**

# Pierwsza i jedyna terapia do podawania podskórnego zatwierdzona przez FDA do leczenia NMOSD u pacjentów, u których występują przeciwciała przeciwko akwaporynie 4, która może być podawana co cztery tygodnie samodzielnie przez osobę chorą lub jej opiekuna

* **Pierwsza i jedyna zatwierdzona terapia w NMOSD ukierunkowana przeciwko receptorowi interleukiny 6 oraz hamująca jego aktywność, wykorzystująca nową technologię recyklingu przeciwciał**
* **Zatwierdzenie leku opiera się na jednym z największych programów badań klinicznych przeprowadzonych w zakresie tej rzadkiej choroby**

Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) zatwierdziła produkt leczniczy satralizumab jako pierwszą i jedyną formę leczenia podskórnego dla dorosłych osób z chorobami ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD), u których występują przeciwciała przeciwko akwaporynie 4. NMOSD to rzadka, trwająca całe życie, wyniszczająca choroba autoimmunologiczna ośrodkowego układu nerwowego, często błędnie diagnozowana jako stwardnienie rozsiane, która uszkadza przede wszystkim nerw wzrokowy/nerwy wzrokowe i rdzeń kręgowy, powodując ślepotę, osłabienie mięśni i paraliż.

„Zatwierdzenie w dniu dzisiejszym przez FDA produktu leczniczego satralizumab, pierwszej podskórnej terapii na NMOSD wykorzystującej nowatorską technologię recyklingu przeciwciał, bazuje na naszej pracy w dziedzinie stwardnienia rozsianego związanej z lekiem ocrelizumab, ukierunkowanej na rozwijanie najnowocześniejszych produktów leczniczych i dalsze pogłębianie wiedzy naukowej na temat chorób neuroimmunologicznych,” powiedział Levi Garraway, M.D., Ph.D., Chief Medical Officer i Dyrektor ds. Globalnego Rozwoju Produktów Roche. „Dziękujemy społeczności związanej z NMOSD, w tym pacjentom i osobom prowadzącym badania, którzy uczestniczyli w badaniach klinicznych dotyczących produktu satralizumab.”

Satralizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym i jedyną zatwierdzoną terapią **ukierunkowaną przeciwkowo receptorowi interleukiny 6 oraz hamującą jej aktywność** (IL-6), której rola w procesie zapalnym związanym z NMOSD uważana jest za kluczową. Satralizumab został zaprojektowany przez firmę Chugai, należącą do grupy Roche, z wykorzystaniem nowatorskiej technologii recyklingu przeciwciał, która wydłuża czas krążenia, co umożliwia podawanie leku podskórnie co cztery tygodnie.

„U osób chorych na NMOSD nawroty mogą powodować wyniszczające, nieodwracalne i upośledzające skutki neurologiczne,” powiedział profesor Jeffrey Bennet z katedry neurologii i okulistyki Uniwersytetu w Kolorado prowadzący kluczowe badania kliniczne dotyczące satralizumabu. „Dysponowanie zatwierdzoną terapią, która może być podawana podskórnie w domu i której wpływ na częstość występowania nawrotów został naukowo potwierdzony, to istotny postęp dla pacjentów.”

„Jesteśmy pełni optymizmu i wierzymy, że wprowadzenie tej nowej zatwierdzonej metody leczenia będzie istotną zmianą dla chorych cierpiących na NMOSD, osób, które ich kochają i wspierają, a także lekarzy, którzy ich leczą,” powiedziała Victoria Jackson, założycielka „The Guthy-Jackson Charitable Foundation. „Gdy w 2008 r. zdiagnozowano u mojej córki NMOSD, nie było żadnych zatwierdzonych metod leczenia, występował też poważny brak zasobów i zrozumienia dla osób żyjących z tym upośledzającym schorzeniem. Zatwierdzenie przez FDA satralizumabu, po wielu latach wysiłków i współpracy, stanowi przykład tego, jak pacjenci, przedstawiciele przemysłu farmaceutycznego i świata nauki mogą wspólnie znajdować rozwiązania.

Satralizumab może być podawany w domu samodzielnie przez pacjenta chorego na NMOSD lub jego opiekuna po przeszkoleniu przez pracownika opieki zdrowotnej. Terapia podawana jest co cztery tygodnie po podaniu wstępnych dawek nasycających.

# Informacje o chorobach ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD)

NMOSD to rzadka i wyniszczająca choroba autoimmunologiczna ośrodkowego układu nerwowego, która uszkadza przede wszystkim nerw wzrokowy/nerwy wzrokowe i rdzeń kręgowy, powodując ślepotę, osłabienie mięśni i paraliż. U osób chorych na NMOSD występują nieprzewidywalne, ostre rzuty, które są bezpośrednią przyczyną kumulujących się, stałych uszkodzeń neurologicznych i niepełnosprawności. W niektórych przypadkach rzuty choroby mogą prowadzić do śmierci. Liczba osób cierpiących na NMOSD wynosi w Europie ponad 10 000, w Stanach Zjednoczonych do 15 000, a na całym świecie około 200 000. NMOSD dotyka osoby w każdym wieku, każdej rasy i każdej płci, lecz najczęściej występuje u kobiet po 30. i po 40. roku życia i wydaje się, że występowanie choroby jest częstsze u osób pochodzenia afrykańskiego lub azjatyckiego. Istnieją pewne dowody na to, że u osób pochodzenia afrykańskiego lub azjatyckiego choroba może również mieć ostrzejszy przebieg.

NMOSD jest często związane z występowaniem patogennych przeciwciał (AQP4), które rozpoznają i niszczą pewien określony rodzaj komórek zwanych astrocytami, co prowadzi do zmian zapalnych w nerwie wzrokowym/nerwach wzrokowych, rdzeniu kręgowym i mózgu. Przeciwciała przeciwko AQP4 wykrywa się w surowicy krwi u około 70–80% pacjentów z NMOSD.

Chociaż w większości przypadków NMOSD można potwierdzić testem diagnostycznym, u osób żyjących z tą chorobą nadal często błędnie rozpoznawane jest stwardnienie rozsiane. Dzieje się tak ze względu na nakładające się charakterystyki obu chorób, w tym częstsze występowanie u kobiet, podobne objawy, oraz fakt, że obie choroby charakteryzują się występowaniem rzutów.

# Informacje o satralizumabie

Produkt leczniczy satralizumab, zaprojektowany przez firmę Chugai należącą do grupy Roche, to humanizowane przeciwciało monoklonalne skierowane przeciwko aktywności receptora IL-6. Cytokina IL-6 uważana jest za kluczowy czynnik wywołujący NMOSD, który wyzwala kaskadę zapalenia i prowadzi do uszkodzeń i niepełnosprawności. Satralizumab został zaprojektowany z zastosowaniem nowatorskiej technologii recyklingu przeciwciał, która sprawia, że przeciwciała utrzymują się w obiegu dłużej niż w przypadku technologii tradycyjnej, co umożliwia podawanie leku podskórnie co cztery tygodnie.

Pozytywne wyniki badań III fazy leku satralizumab, stosowanego zarówno w monoterapii, jak i w skojarzeniu z podstawową terapią immunosupresyjną, sugerują, że hamowanie aktywności IL-6 jest skutecznym podejściem terapeutycznym do leczenia NMOSD. Program rozwoju klinicznego fazy III dotyczący leku obejmuje dwa badania kliniczne: SAkuraStar i SAkuraSky.

Satralizumab został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy w USA, Europie i Japonii. Ponadto, w grudniu 2018 r., FDA nadała lekowi status terapii przełomowej w leczeniu NMOSD.