



**Risposta di ADVANZ PHARMA alla revoca da parte della Commissione Europea dell'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata di Ocaliva® (acido obeticolico) per la malattia rara Colangite Biliare Primitiva (CBP)**

- L'acido obeticolico è l'unico agonista del recettore farnesoide X (FXR) per i pazienti affetti da CBP e, finora, l'unica opzione terapeutica di seconda linea approvata e disponibile in Europa.
- ADVANZ PHARMA sta valutando tutte le opzioni per garantire ai pazienti la continuità di accesso al farmaco.

Londra, Regno Unito – 03 Settembre 2024: ADVANZ PHARMA Holdco Limited (ADVANZ PHARMA o la Società), azienda farmaceutica con sede nel Regno Unito, annuncia oggi che la Commissione Europea (CE) ha revocato l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata (AIC condizionata) dell'acido obeticolico in Europa per il trattamento di seconda linea dei pazienti affetti da Colangite Biliare Primitiva (CBP).

La decisione della CE si basa su una raccomandazione del Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) del giugno 2024, che prevedeva la revoca dell'autorizzazione all'immissione in commercio dell'acido obeticolico in tutta Europa, a seguito di una procedura ex articolo 20 del Regolamento (CE) n. 726/2004 volta a rivalutare il profilo rischio-beneficio del farmaco nella CBP. Tale procedura non si è basata su alcuna tematica concernente la sicurezza.

ADVANZ PHARMA non è d'accordo con la decisione della Commissione Europea, che espone migliaia di pazienti con CBP che stanno traendo un beneficio dall'acido obeticolico ad un rischio maggiore di progressione della malattia, con opzioni di trattamento limitate. L'azienda sta attualmente valutando tutte le opzioni per garantire continuità nell'accesso all'acido obeticolico.

Steffen Wagner, CEO di ADVANZ PHARMA, ha commentato: "Siamo fortemente in disaccordo con la decisione della Commissione Europea di revocare l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata dell'acido obeticolico, l'unico agonista FXR per i pazienti affetti da CBP e finora l'unica opzione terapeutica di seconda linea approvata e disponibile in Europa. Il ritiro dell'acido obeticolico potrebbe avere un impatto profondamente negativo sulla vita delle migliaia di pazienti con CBP in Europa che hanno beneficiato di questo importante trattamento per molti anni. La decisione espone queste persone a un rischio maggiore di progressione della malattia, compresi gravi danni al fegato, trapianto di fegato o morte.

Siamo impegnati a sostenere i pazienti affetti da CBP e prenderemo in considerazione tutte le potenziali opzioni per mantenere la disponibilità di questa importante opzione terapeutica.

Continueremo a collaborare con le autorità competenti in tutta l'UE per contribuire a garantire che l'acido obeticolico rimanga disponibile per i pazienti che ne hanno bisogno”.

L'Azienda considera che il CHMP non ha considerato adeguatamente la totalità dei dati disponibili a sostegno dell'efficacia e della sicurezza dell'acido obeticolico nella CBP, in particolare la ricchezza di evidenze di Real- World (RWE) raccolte in più di sette anni di utilizzo clinico, che rappresentano oltre 47,000 pazienti trattati negli anni di esperienza con la terapia. Si è invece basata su un'analisi effettuata principalmente su un unico studio randomizzato controllato con placebo, lo studio 747-302 (COBALT), che presentava numerose limitazioni, tra cui il fatto che i pazienti nel braccio placebo hanno scelto, senza sorpresa, di passare alla terapia disponibile in commercio, ma che sono stati analizzati come pazienti trattati con placebo secondo la metodologia Intention-To-Treat (ITT).

I risultati dello studio COBALT, recentemente pubblicati sull'*American Journal of Gastroenterology*, evidenziano le difficoltà di condurre studi sugli esiti a lungo termine nelle malattie rare, quando il farmaco in studio è disponibile in commercio.

La comunità dei pazienti, i maggiori esperti, i medici e le società scientifiche di epatologia e gastroenterologia hanno espresso alla Commissione Europea la preoccupazione che il ritiro dell'acido obeticolico lasci i pazienti senza un'importante opzione terapeutica per questa rara malattia epatica potenzialmente letale. Tutte le principali società scientifiche raccomandano l'acido obeticolico come opzione terapeutica di seconda linea nelle loro linee guida cliniche.

L'EMA ha fatto riferimento alla possibilità per ADVANZ PHARMA di continuare - nel rispetto delle leggi e dei regolamenti locali - a fornire l'acido obeticolico nell'UE. ADVANZ PHARMA si impegna a sostenere i pazienti e garantirà la disponibilità in base alle disposizioni approvate dalle autorità nazionali competenti.

Ocaliva® (acido obeticolico, OCA) è un medicinale orfano autorizzato con AIC condizionata, nel dicembre 2016. L'acido obeticolico è l'unico agonista del recettore farnesoide X (FXR) per i pazienti affetti da CBP e, finora, l'unica opzione terapeutica di seconda linea approvata e disponibile in Europa. Per qualsiasi domanda, i pazienti devono consultare il proprio medico curante.

Ulteriori informazioni sono disponibili presso [medicalinformation@advanzpharma.com](mailto:medicalinformation@advanzpharma.com).

### **Informazioni su ADVANZ PHARMA**

ADVANZ PHARMA è un'azienda farmaceutica globale con l'obiettivo di migliorare la vita dei pazienti fornendo e potenziando i farmaci specialistici, ospedalieri e per malattie rare da cui gli stessi dipendono. La nostra sede centrale è a Londra, nel Regno Unito. Forniamo i nostri prodotti in oltre 90 Paesi a livello globale e abbiamo una presenza commerciale diretta in più di 20 Paesi, tra cui Paesi chiave in Europa, Stati Uniti, Canada e Australia, un Centro di Eccellenza a Mumbai, in India, nonché una rete consolidata di partner per la distribuzione e la commercializzazione a livello globale. Il portafoglio e la pipeline di prodotti di ADVANZ PHARMA comprendono farmaci

innovativi, specialità generiche e biosimilari e marchi originator. I nostri prodotti coprono un'ampia gamma di aree terapeutiche, tra cui l'epatologia, la gastroenterologia, gli antifettivi, la terapia intensiva, l'endocrinologia, l'oncologia, il sistema nervoso centrale e, più in generale, i farmaci per le malattie rare. La nostra ambizione è quella di essere il partner di riferimento per la commercializzazione di farmaci specialistici, ospedalieri e per malattie rare in Europa, Canada e Australia. In linea con la nostra ambizione, collaboriamo con aziende biofarmaceutiche e di sviluppo per portare i farmaci ai pazienti. Per ulteriori informazioni, visitate il nostro sito web o LinkedIn.

Per le richieste dei media, contattare:

LS CUBE

Email: [sara.amori@lscube.it](mailto:sara.amori@lscube.it)

Telefono: 335.5951632