

Bergamo 20/08/2024

Alla Cortese attenzione della Presidenza AICE

Alla cortese attenzione del Direttivo AICE

Gentilissimi,

ROCTAVIAN (valoctocogene roxaparvovec) offre un'opzione importante per i pazienti affetti da emofilia A grave con un controllo durevole e sostenuto del sanguinamento sulla base di oltre 500 anni-paziente di osservazione nel nostro programma di studi clinici.

Al quarto anno di questi studi, l'82% delle persone che hanno partecipato non ha ricevuto profilassi, un risultato terapeutico significativo se si considera l'elevato carico del trattamento cronico per le persone con emofilia A grave.

Tuttavia, prevedevamo un lancio commerciale diverso da quello che abbiamo osservato e oggi abbiamo annunciato cambiamenti adattando la nostra strategia clinica e commerciale di conseguenza.

Concentreremo quindi gli sforzi commerciali su Stati Uniti, Germania e **Italia**, dove abbiamo già l'approvazione e il rimborso del farmaco e per quanto riguarda il nostro programma clinico in corso, non avvieremo nuovi studi né arruoleremo nuovi pazienti ma continueremo a supportare i pazienti che hanno già ricevuto il trattamento ROCTAVIAN, generando dati di sicurezza ed efficacia a lungo termine e adempiendo agli impegni normativi relativi ai programmi clinici.

In questo modo sarà possibile avere il tempo necessario affinché ROCTAVIAN esprima il suo potenziale in favore dei pazienti e di BioMarin.

Questa decisione non è correlata in alcun modo all'efficacia o alla sicurezza, né si basa su indicazioni di alcuna autorità regolatoria.

BioMarin continuerà a supportare gli operatori sanitari e i pazienti che hanno già ricevuto il trattamento sia negli studi clinici, come specificato nel protocollo di studio, sia a livello commerciale.

Siamo profondamente grati ai medici e ai pazienti che hanno supportato la terapia genica e continueremo a fornire aggiornamenti non appena disponibili.

Cordialmente

BioMarin Italia

BioMarin Pharmaceutical Italia srl

Sede Legale: Kilometro Rosso - Via Stezzano, 87
24126 Bergamo (BG) Italy
Building Pixel 3rd Floor
Tel +39 02 90964551
Fax +39 035 19967503
www.biomarin.com