

Alla Cortese Attenzione
della presidenza AICE
del Direttivo AICE

Bergamo 28/10/2025

Oggetto: Comunicazione Roctavian

Facendo seguito alla comunicazione di BioMarin del 27/10, con la presente desideriamo completare le informazioni già disponibili.

ROCTAVIAN è la prima e unica terapia genica approvata per gli adulti con emofilia A grave, che offre la possibilità di controllare le emorragie per anni dopo un singolo trattamento ed è attualmente disponibile e rimborsata in Italia, Stati Uniti e Germania.

All'inizio di quest'anno, abbiamo condiviso i dati di Fase 3 a cinque anni che hanno dimostrato che i pazienti con emofilia A grave trattati con ROCTAVIAN hanno ottenuto un controllo delle emorragie a lungo termine senza la necessità di profilassi, con un impatto significativo sul carico psicologico e clinico di questa condizione.

Roctavian ha inoltre confermato questo suo potenziale anche nell'esperienza in real-life in Italia, Stati Uniti e Germania.

Nonostante questi risultati incoraggianti, è stato deciso di valutare la possibilità di cessione del prodotto, poichè crediamo che ROCTAVIAN possa beneficiare del supporto di un'azienda con una più forte presenza in ematologia o di aziende che hanno interesse nella terapia genica o cellulare: questo consentirebbe l'accesso in un numero maggiore di paesi.

Questa decisione non è in alcun modo correlata al profilo di sicurezza o efficacia di ROCTAVIAN e non avrà alcun impatto sull'accesso e sulla disponibilità del farmaco per le infusioni di ROCTAVIAN programmate o future. Roctavian continuerà quindi ad essere disponibile in Italia, Stati Uniti e Germania.

Durante questo processo, manterremo lo stesso livello di supporto che abbiamo sempre fornito alle persone con emofilia A, alla comunità scientifica, ai Medici e ai Centri Emofilia che contano su di noi. Continueremo a collaborare attivamente per garantire che i pazienti in procinto di ricevere ROCTAVIAN possano essere trattati. Ci impegniamo a garantire che tutti i pazienti che sono già stati trattati con ROCTAVIAN continuino a ricevere il supporto durante il processo di trasferimento della titolarità commerciale;

BioMarin Pharmaceutical Italia S.r.l.

Sede legale: polo Km rosso edificio pixel

Via Stezzano 87

24126 Bergamo

Tel: +39 0350086936

Fax: +39 035 199 67 503

Capitale sociale: Euro 11.000, i.v.

Codice Fiscale e P.IVA: 10362390964

www.biomarin.com



continueremo quindi ad onorare i nostri impegni di monitoraggio a lungo termine e le nostre partnership con la comunità scientifica e le Associazioni Pazienti.

Siamo all'inizio di questa transizione e condivideremo ulteriori informazioni non appena saranno disponibili.

Restiamo a vostra disposizione per ulteriori necessità e vi porgiamo i nostri più cordiali saluti

Biomarin Italia

BioMarin Pharmaceutical Italia S.r.l.

Sede legale: polo Km rosso edificio pixel

Via Stezzano 87

24126 Bergamo

Tel: +39 0350086936

Fax: +39 035 199 67 503

Capitale sociale: Euro 11.000, i.v.

Codice Fiscale e P.IVA: 10362390964

www.biomarin.com