



23/02/2026

Oggetto: Aggiornamento importante riguardante la specialità medicinale ROCTAVIAN® (valoctocogene roxaparvovec).

Gentilissimi,

Desideriamo condividere un importante aggiornamento su ROCTAVIAN® (valoctocogene roxaparvovec).

A seguito del nostro annuncio di ottobre di cedere ROCTAVIAN e rimuoverlo dal nostro portafoglio, abbiamo avviato un'intensa attività per identificare un potenziale acquirente con una presenza consolidata nel settore dell'ematologia o della terapia genica. Nonostante questi sforzi, non siamo riusciti a individuare un acquirente qualificato e, di conseguenza, abbiamo deciso di ritirare volontariamente ROCTAVIAN dal mercato.

Questa decisione non è correlata all'efficacia o al profilo di sicurezza di ROCTAVIAN. La sicurezza dei pazienti rimane la massima priorità per BioMarin.

Cosa significa questo per voi e i vostri pazienti.

La nostra priorità rimane il benessere e la sicurezza dei pazienti. Collaboreremo strettamente con gli operatori sanitari affinché coloro che desiderino ricevere ROCTAVIAN possano farlo entro il 29 maggio 2026.

Per i pazienti già trattati con ROCTAVIAN, continueremo a fornire i nostri servizi di patient support program per 2 anni. I meccanismi consolidati di farmacovigilanza e segnalazione degli eventi avversi rimangono invariati e gli operatori sanitari devono continuare a segnalare gli eventi avversi secondo le normative locali.

Per supportare gli operatori sanitari e i pazienti che volessero ricevere ROCTAVIAN prima del 29 Maggio 2026, consigliamo di:

- Confermare l'idoneità ad AAV5 entro il 15 aprile 2026
- Effettuare gli ordini di ROCTAVIAN entro il 1° maggio 2026

- Programmare le infusioni entro il 15 maggio 2026

Siamo grati per la collaborazione con gli operatori sanitari in questi anni e continueremo a comunicare in modo trasparente allineandoci con le autorità sanitarie sui prossimi passi. Siamo disponibili a discutere di cosa questo significhi per i vostri pazienti e a rispondere a qualsiasi domanda.

Cordiali saluti,

Jill Jepson

ROCTAVIAN Business Unit Head
JJepson@bmm.com

Patrick Fogarty

Executive Medical Director and Head, Hemophilia
Medical Unit
Patrick.Fogarty@bmm.com



Brought to you by:

B:OMARIN®

ROCTAVIAN® is a registered trademark of BioMarin Pharmaceutical Inc.
©2026 BioMarin Pharmaceutical Inc.
All rights reserved. COM-RC-0142 02/26