

Sarepta Therapeutics annuncia un aggiornamento regolatorio su eteplirsen

- ricevute dall' FDA ulteriori indicazioni aggiornate in merito alla richieste di dati specifici per una NDA;
- L'FDA dichiara che è necessaria un'ulteriore discussione per determinare cosa costituisce una sottomissione NDA "completa";
- La sottomissione dell'NDA prevista per metà 2015;
- La company terrà una teleconferenza oggi (27 ottobre 2014) .

CAMBRIDGE, Mass. (BUSINESS WIRE) 27 ottobre 2014 - Sarepta Therapeutics, Inc., company che si occupa di sviluppare terapie innovative basate sull'RNA, ha fornito oggi un aggiornamento in merito al dialogo con la statunitense Food and Drug Administration (FDA) rispetto al proprio piano di sottomissione di una New Drug Application (NDA) per l'approvazione di eteplirsen come trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD).

Nel verbale relativo al meeting pre-NDA di tipo B che si è svolto a settembre 2014 e che abbiamo ricevuto la scorsa settimana, l'FDA ha fornito un orientamento aggiornato riguardo i dati specifici che devono essere inclusi o all'interno dell'NDA sottomesso o nel momento della sottomissione da Sarepta. La guida afferma che sono ora richiesti ulteriori dati da includere nella sottomissione NDA, inclusi i risultati di una valutazione indipendente delle immagini della distrofina, e dei dati clinici dello studio 202 di 168 settimane. Inoltre, l'orientamento richiede dati più specifici, inclusa una durata minima della sicurezza in nuovi pazienti trattati con eteplirsen, dati di storia naturale relativi ai pazienti che Sarepta deve ottenere da istituzioni accademiche indipendenti, e dati di MRI da un recente studio condotto da un gruppo accademico indipendente.

L'FDA ha affermato che "saranno necessarie ulteriori discussioni con Sarepta per determinare cosa costituirebbe una NDA completa". In base a queste richieste, Sarepta programma di sottomettere una NDA entro metà 2015, a meno di richieste aggiuntive provenienti da ulteriori discussioni con l'FDA.

Chris Garabedian, presidente and chief executive officer di Sarepta Therapeutics, ha affermato: "Siamo impegnati a soddisfare le richieste aggiornate dell'FDA riguardanti questi specifici dati da includere come parte della sottomissione NDA e continueremo a lavorare con l'Agenzia verso l'obiettivo di una richiesta

per una NDA che sia completa ed accettabile. Crediamo che tutti i dati richiesti e gli ulteriori dialoghi con l'FDA che sono stati attualmente richiesti possono essere completati in tempo per la sottomissione dell' NDA entro la metà del 2015. La nostra principale priorità continua ad essere quella di ottenere dall' FDA l'approvazione per eteplirsen per i pazienti DMD che possano beneficiare dalla terapia con la molecola”.

Estratti del verbale del meeting pre-NDA relativi alle informazioni che l'FDA richiede come parte della sottomissione dell' NDA comprendono:

“Al momento della sottomissione dell'NDA, lo sponsor dovrebbe includere anche i dati a 3 mesi provenienti da nuova esposizione di almeno 12 fino a 24 pazienti.”

“Al momento della sottomissione dell'NDA, dovrebbero essere inclusi anche i dati disponibili provenienti dagli altri pazienti reclutati nei nuovi studi con eteplirsen (studi 301, 203, 204), anche se l'esposizione è inferiore a 3 mesi di durata”.

“Nell' aggiornamento sulla sicurezza a 120 giorni, dovrebbero essere presentati dati ulteriori provenienti dalle tempistiche successive e dai nuovi pazienti reclutati”.

“L'FDA consiglia fortemente allo sponsor di acquisire e sottomettere dati inerenti la storia naturale dei pazienti. L'FDA è pronta a chiedere ai gruppi accademici in possesso dei dati di consentire allo sponsor un mezzo per poterli acquisire”.

“L'ispezione dei centri clinici dello studio 201/202 condotta a maggio 2014, dopo l'emissione della lettera di orientamento del 15 aprile 2014, ha rilevato disparità importanti nelle metodiche di immunoistochimica e preoccupazioni riguardo la riproducibilità dei dati. L'assenza confermata di misurazioni robuste della distrofina durante la visita al centro necessita di includere la valutazione indipendente delle fibre distrofino-positive e dei dati di efficacia a 168 settimane provenienti dallo studio 201/202 nell'NDA”.

“L'FDA sollecita fortemente lo sponsor a sottomettere i dati dell'MRI insieme ai controlli appropriati di storia naturale”.

L'FDA ha inoltre dichiarato che “saranno necessarie ulteriori discussioni tra lo sponsor e l'FDA per determinare cosa costituirebbe un NDA completo”.

Traduzione a cura dell'Ufficio Scientifico di Parent Project Onlus