

COMUNICATO STAMPA

Zambon ottiene la designazione di “Breakthrough Therapy” da FDA per CMS I-neb® nei pazienti con bronchiectasie non correlate alla fibrosi cistica (NCFB). Un riconoscimento che permette di velocizzare la revisione di una “terapia fortemente innovativa”.

- CMS I-neb® (*Colistimetato sodico* somministrato con inalatore I-neb®) è un trattamento sperimentale in fase di sviluppo come potenziale terapia “first-in-class” inalatoria per adulti affetti da NCFB e infezione cronica da *P. aeruginosa*.
- NCFB è una malattia respiratoria cronica progressiva e irreversibile.
- La designazione Breakthrough Therapy riconosciuta da FDA per CMS I-neb® nella NCFB consente la potenziale accelerazione di sviluppo del trattamento.

Milano e Boston, 21 Aprile, 2022 — Dagli Stati Uniti arriva un'altra buona notizia per i pazienti affetti da **bronchiectasie non correlate alla fibrosi cistica** (NCFB). Ed è un risultato che parte dall'Italia. Zambon, multinazionale farmaceutica orientata allo sviluppo di terapie innovative volte a migliorare la salute e la qualità della vita dei pazienti, ha ottenuto dalla **Food and Drug Administration (FDA)** la designazione di **Breakthrough Therapy** per la terapia che prevede l'uso del colistimetato sodico in polvere per nebulizzazione somministrato tramite l'inalatore I-neb® (CMS I-neb®). La terapia riduce l'incidenza delle riacutizzazioni polmonari nelle persone adulte affette da NCFB e concomitante infezione cronica da *Pseudomonas aeruginosa*.

La NCFB è una malattia respiratoria cronica progressiva e irreversibile. Non sono al momento disponibili trattamenti inalatori approvati per pazienti affetti da NCFB e infezione cronica da *P. aeruginosa*.

La designazione Breakthrough Therapy viene concessa da FDA per accelerare lo sviluppo e la revisione regolatoria di farmaci sperimentali per la cura di malattie gravi o mortali. Per ricevere questa designazione, una terapia sperimentale deve avere ottenuto risultati clinici preliminari da cui emerge che il farmaco consente un sostanziale miglioramento rispetto alle terapie esistenti in relazione a uno o più obiettivi clinici significativi.¹

La designazione ottenuta è supportata dai dati dello studio di fase 3 PROMIS - I che ha dimostrato come CMS I-neb® abbia ridotto significativamente, rispetto a placebo, il tasso annuale di esacerbazioni polmonari in pazienti adulti affetti da NCFB e infezione cronica da *P. aeruginosa*, endpoint primario dello studio. Inoltre, lo studio ha raggiunto importanti obiettivi secondari, tra cui la riduzione delle esacerbazioni gravi, il prolungamento del tempo alla prima esacerbazione e anche il miglioramento della qualità della vita (QoL) dei pazienti. Il trattamento ha dimostrato di essere ben tollerato, con un profilo di sicurezza che è risultato simile a quello verificatosi con il placebo. I dati dello studio PROMIS - I sono stati presentati al Congresso internazionale della European Respiratory Society (ERS) nel mese di settembre 2021.

“Poiché ad oggi non esistono farmaci approvati per i pazienti con NCFB e infezione cronica da P. aeruginosa in nessun Paese del mondo, la designazione Breakthrough Therapy di FDA segna un importante passo avanti a sostegno della nostra ricerca per sviluppare e per fornire opzioni terapeutiche rivolte a persone con malattie respiratorie rare e gravi,” ha dichiarato il **CEO di Zambon Roberto Tascione**. *“Siamo orgogliosi che FDA abbia riconosciuto l’importanza di CMS I-neb® e l’urgente necessità di sviluppare trattamenti innovativi per questi pazienti.”*

La **Breakthrough Therapy Designation**, ovvero la “corsia preferenziale” per lo sviluppo di nuovi farmaci volti a trattare una malattia o condizione grave o potenzialmente mortale, rappresenta un importante passo verso lo sviluppo di quello che potrebbe essere il primo trattamento approvato al mondo per i pazienti affetti da **bronchiectasia non correlata alla fibrosi cistica (NCFB)** e con infezione cronica da *P. aeruginosa*.

“La designazione Breakthrough Therapy rafforza la nostra fiducia nella combinazione CMS I-neb®, che, se approvata, rappresenterebbe il primo trattamento inalatorio per pazienti adulti affetti da NCFB cronicamente infetti da P. aeruginosa. CMS I-neb® è un trattamento sperimentale per inalazione unico, studiato per somministrare concentrazioni del farmaco direttamente al sito interessato dalla malattia, mirando a ridurre al minimo l’esposizione sistemica che può causare tossicità ed effetti indesiderati. Siamo entusiasti di lavorare a fianco di FDA nei prossimi mesi mentre portiamo avanti lo sviluppo di CMS I-neb® con la speranza di aiutare i pazienti le cui vite sono colpite da questa malattia”, ha commentato **Paola Castellani, Chief Medical Officer e R&D Head di Zambon**.

Nei pazienti con NCFB, l’infezione polmonare da *Pseudomonas aeruginosa* è associata a frequenti esacerbazioni polmonari e ricoveri ospedalieri, a un peggioramento della qualità della vita e a un aumento della mortalità².

La NCFB

Le bronchiectasie non correlate alla fibrosi cistica (NCFB) sono una malattia polmonare cronica caratterizzata da infezioni ricorrenti, infiammazione, tosse persistente e catarro, la cui prevalenza nel mondo è in aumento. La NCFB ha un decorso progressivo, determinato principalmente dalla frequenza delle esacerbazioni, molte delle quali sono legate a *Pseudomonas aeruginosa*. Per questo, gli sforzi della ricerca volti a curare le infezioni da *Pseudomonas aeruginosa* e le esacerbazioni polmonari ad essa associate restano una priorità clinica.

Il trattamento della bronchiectasia punta a prevenire le riacutizzazioni, mitigare i sintomi, migliorare la qualità della vita e rallentare la progressione della malattia. I sintomi più frequenti sono tosse e catarro, spesso associati a dispnea, ma si verificano con una certa frequenza anche rinosinusite, astenia, emottisi e dolore toracico.

Il colistimetato sodico (CMS)

Nella formulazione impiegata per la terapia inalatoria, il colistimetato sodico (CMS) è un profarmaco dell'antibiotico colistina. La colistina è un antibiotico appartenente alla classe delle polimixine, derivato dal *Bacillus polymyxa var. colistinus*. Gli antibiotici polimiximici sono agenti tensioattivi che si legano alla membrana cellulare batterica modificandone la permeabilità e causando la morte della cellula batterica.

La colistina è un principio attivo efficace contro i batteri Gram-negativi aerobici che causano infezioni pericolose per la vita, come quella causata dallo *Pseudomonas aeruginosa*. La colistina è uno dei pochi antimicrobici ancora efficaci contro i batteri Gram-negativi multi-farmacoresistenti ed è attualmente considerata una delle ultime opzioni terapeutiche per le infezioni causate da batteri resistenti ai carbapenemi, come lo *Pseudomonas aeruginosa*.

L'I-neb®

L'I-neb® è un nebulizzatore di terza generazione per AAD (Adaptive Aerosol Delivery). L'I-neb® è un piccolo dispositivo alimentato a batterie leggero e silenzioso, in grado di erogare una dose precisa e riproducibile del farmaco.

La tecnologia AAD assicura una somministrazione ottimale, poiché eroga il farmaco solo quando il paziente inspira (e non continuamente come i nebulizzatori tradizionali). Ciò consente una penetrazione profonda del farmaco nei polmoni, oltre a ridurre notevolmente la dispersione nell'ambiente. Inoltre, il sistema AAD assicura l'erogazione della giusta quantità di farmaco, indipendentemente dalla profondità e frequenza degli atti respiratori del paziente.

L'I-neb® produce un aerosol fine a bassa velocità spingendo il farmaco liquido attraverso una membrana con fori di diametro molto piccoli. Più rapido dei nebulizzatori convenzionali a compressore o a ultrasuoni, l'I-neb® consente tempi di trattamento più brevi (di norma 3-4 minuti) ed eroga il farmaco con maggiore precisione.

Zambon S.p.A.

Zambon Spa è una moderna multinazionale farmaceutica nata a Vicenza nel 1906, la cui storia si fonda sui valori di un'impresa familiare italiana impegnata nel migliorare la vita e la salute dei

pazienti. Conta 2.400 collaboratori in tutto il mondo, è presente in 23 paesi tra Europa, America e Asia, e può contare sui suoi stabilimenti produttivi in Italia, Svizzera, Cina e Brasile. Grazie ai suoi prodotti innovativi e di qualità commercializzati in 87 paesi, Zambon Spa nel 2021 ha fatto registrare un fatturato di 638 milioni di euro. Oltre a essere ben consolidata nelle tre storiche aree terapeutiche - malattie dell'apparato respiratorio, trattamento del dolore e infezioni delle vie urinarie - Zambon è concentrata sullo sviluppo di trattamenti per malattie neurodegenerative come il morbo di Parkinson e patologie rare come la fibrosi cistica, la BOS (Sindrome da Bronchiolite Obliterante), a cui è collegata l'importante acquisizione del 2019 di Breath Therapeutics, e la Bronchiectasia non legata alla Fibrosi Cistica (NCFB). All'interno del nuovo ambizioso corso intrapreso da Zambon, ha assunto un ruolo importante anche l'accordo con Aquestive Therapeutics per commercializzare e distribuire in Europa un'innovativa formulazione di riluzolo in pellicola orale per i pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica. Per ulteriori informazioni su Zambon, visitare il sito www.zambon.com

Per ulteriori informazioni si prega di contattare:

Zambon S.p.A.

Cabiria Reina
Global Pharma Communication
+39 348 0404321

MY PR (relazioni con i media)

Tel. +39.02.54123452 Roberto Grattagliano – roberto.grattagliano@mypr.it –
+39 338 9291793 Fabio Micali – fabio.micali@mypr.it – +39 340 8758736

¹ U.S. FDA Breakthrough Therapy: <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy> (Accessed April 12, 2022)

² Weigt, et al. Semin Respir Crit Care Med. 2013;34(3):336–351.