

Pfizer y Sangamo comienzan a administrar giroctocogen fitelparvovec al primer participante en el estudio de fase 3 de esta terapia génica para la hemofilia A

El objetivo primario del estudio es analizar el impacto en la tasa anualizada de sangrado (ABR) durante los 12 meses posteriores al tratamiento con giroctocogen fitelparvovec

La colaboración entre Pfizer y Sangamo respecto a giroctocogen fitelparvovec comenzó en mayo de 2017

Madrid, 3 de noviembre de 2020.- Pfizer y la compañía de medicina genómica Sangamo han anunciado que el primer participante del estudio AFFINE en fase 3 ya ha recibido la dosis de giroctocogen fitelparvovec, una terapia génica en investigación para pacientes con hemofilia A.

AFFINE es un estudio global de fase 3, abierto, multicéntrico y no controlado que evaluará la eficacia y seguridad de giroctocogen fitelparvovec en pacientes con hemofilia A moderadamente grave y grave (actividad FVIII \leq 1%). El objetivo primario del estudio es analizar el impacto en la tasa anualizada de sangrado (ABR) durante los 12 meses posteriores al tratamiento con giroctocogen fitelparvovec en comparación con la ABR en la terapia de reemplazo del factor VIII (FVIII) recogida durante el período inicial del estudio de fase 3. Los participantes continuarán siendo analizados durante un período de 5 años después de la única dosis para la evaluación a largo plazo de la durabilidad y eficacia de esta terapia.

“El inicio del ensayo pivotal de dosificación de fase 3 de giroctocogen fitelparvovec es un gran logro para Pfizer, ya que reafirma nuestro compromiso de mejorar las opciones terapéuticas para la comunidad con hemofilia”, explica Brenda Cooperstone, directora de Desarrollo, Enfermedades Raras y Desarrollo de Productos Globales de Pfizer. “El reclutamiento en el estudio inicial está progresando adecuadamente y la selección de participantes para la fase 3 está en proceso. Dados los hallazgos mostrados en el estudio de fase 1/2 hasta la fecha, creemos que giroctocogen fitelparvovec tiene potencial para mantener los niveles del factor y reducir las tasas anualizadas de sangrado, lo que podría convertir a esta terapia génica en el tratamiento estándar para los pacientes de hemofilia A de todo el mundo”, afirma.

Los datos obtenidos del estudio inicial de fase 3 proporcionarán una base de referencia para la evaluación en el estudio de fase 3 tras la administración de la terapia de los pacientes participantes. Los datos más actualizados de la fase 1/2 demostraron que, por lo general, giroctocogen fitelparvovec fue bien tolerado. Cada uno de los cinco pacientes de la cohorte de dosis alta mantuvo niveles de actividad de FVIII sin hemorragias ni necesidad de

tratamiento profiláctico durante 85 semanas. Los niveles de actividad del factor VIII se mantuvieron clínicamente a un nivel significativo, con una media geométrica de ~ 71% entre las semanas de 9 y 52.

*“Nos anima que los resultados del estudio de fase 1/2 ALTA alcanzaran dos requisitos claves para la comunidad de pacientes con hemofilia A, mostrando niveles del factor clínicamente significativos y hemorragias reducidas”, indica **Bettina M. Cockroft, directora médica de Sangamo.** “El avance de este programa hacia la fase 3, el más avanzado de nuestros candidatos a terapia génica, es un hito para Sangamo, ya que representa nuestro primer activo en ensayos en fase de registro”, concluye.*

La colaboración entre Pfizer y Sangamo respecto a giroctocogen fitelparvec comenzó en mayo de 2017. Siguiendo los términos de este acuerdo de colaboración, en la actualidad Pfizer es operativa y financieramente responsable de la investigación, el desarrollo, la fabricación y la comercialización de giroctocogen fitelparvec siguiendo el traspaso de Nuevo Medicamento en Investigación (IND, por sus siglas en inglés) de Sangamo a Pfizer que se inició en diciembre de 2019.

Sobre el estudio AFFINE

El estudio de fase 3 AFFINE es un estudio abierto, multicéntrico y no controlado que evalúa la eficacia y seguridad de una única infusión de giroctocogen fitelparvec en más de 60 hombres adultos de entre 18 y 64 años con hemofilia A moderadamente grave y grave (actividad FVIII \leq 1%). Los participantes elegibles para el estudio habrán completado al menos 6 meses de tratamiento en profilaxis con su FVIII durante el estudio preliminar de fase 3 (NCT03587116) con el objetivo de recopilar datos previos a la terapia para determinar la eficacia y los parámetros de seguridad seleccionados.

El objetivo primario del estudio es analizar el impacto en la tasa anualizada de sangrado (ABR) durante los 12 meses posteriores al tratamiento con giroctocogen fitelparvec en comparación con la ABR en la terapia de reemplazo del factor VIII (FVIII). Entre los objetivos secundarios se encuentra medir el nivel de actividad de FVIII después del periodo inicial y durante los 12 meses siguientes a la dosis de giroctocogen fitelparvec.

Sobre giroctocogen fitelparvec

Giroctocogen fitelparvec (SB-525 o PF-07055480), comprende un vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 6 (AAV6) que codifica el ácido desoxirribonucleico complementario para el FVIII humano con dominio B deleciónado. El casete de expresión de giroctocogen fitelparvec se diseñó para una expresión óptima de la proteína hepática FVIII, y apoya alto rendimiento en la producción del vector. El casete transcripcional de giroctocogen fitelparvec incorpora modificaciones multifactoriales al módulo promotor específico del hígado, el transgen FVIII, la señal de poliadenilación sintética y la secuencia del esqueleto del vector.

La Agencia Europea de Medicamentos (EMA, por sus siglas en inglés) ha otorgado la designación de medicamento huérfano a giroctocogen fitelparvec, que también recibió la designación de medicamento huérfano, vía rápida y terapia avanzada de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés) por parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés). Giroctocogen fitelparvec se está desarrollando como parte de la colaboración global entre Sangamo y Pfizer.

Sobre la hemofilia A

La hemofilia es una enfermedad genética hematológica rara que produce una deficiencia de una proteína necesaria para la coagulación sanguínea normal: el factor de coagulación VIII en el caso de la hemofilia A. La gravedad de la hemofilia que tiene una persona está determinada

por la cantidad de factor en la sangre. Cuanto menor sea la cantidad del factor, mayor será la probabilidad de que se produzca un sangrado, lo que puede provocar problemas de salud graves.

La hemofilia A se produce en aproximadamente uno de cada 5.000 a 10.000 nacimientos de varones en todo el mundo. Para las personas que viven con hemofilia A, existe un mayor riesgo de sangrado espontáneo, así como sangrado después de lesiones o cirugía. Es una enfermedad de por vida que requiere seguimiento y terapia constantes.

Sobre Sangamo Therapeutics

Sangamo Therapeutics está comprometida a convertir la ciencia innovadora en medicamentos genómicos con el potencial de transformar la vida de los pacientes mediante la terapia génica, la terapia celular editada genéticamente ex vivo y la edición y regulación génica in vivo. Para obtener más información sobre Sangamo, visite www.sangamo.com

Pfizer en Enfermedades Raras

Las enfermedades raras incluyen algunas de las más graves de todas las enfermedades y afectan a millones de pacientes en todo el mundo, lo que representa una oportunidad para aplicar nuestros conocimientos y experiencia para ayudar a tener un impacto significativo en la atención de las necesidades médicas no cubiertas. El enfoque de Pfizer en enfermedades raras se basa en más de dos décadas de experiencia, una unidad de investigación dedicada a las enfermedades raras y una cartera mundial de múltiples medicamentos dentro de una serie de áreas de enfermedades de interés, incluyendo la hematología, la neurociencia y los trastornos metabólicos hereditarios.

Pfizer en Enfermedades Raras combina una ciencia pionera y un profundo conocimiento de cómo funcionan las enfermedades con los conocimientos de colaboraciones estratégicas innovadoras con investigadores académicos, pacientes y otras empresas para ofrecer tratamientos y soluciones transformadoras. Innovamos cada día aprovechando nuestra huella global para acelerar el desarrollo y la entrega de medicamentos innovadores y la esperanza de curar.

Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 170 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo a los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información www.pfizer.es

Pfizer Comunicación

Ana Luzuriaga - 91 490 97 41
ana.Luzuriaga@pfizer.com

Ogilvy

Cristina Hernández
cristina.hernandez@ogilvy.com

Ana García – 914512116
ana.garcia@ogilvy.com

Paula Malingre – 91 451 21 28
paula.malingre@ogilvy.com