

Basilea, 4 de septiembre de 2015

## **La FDA estadounidense designa al medicamento en investigación ACE910 de Roche como avance terapéutico decisivo para las personas con hemofilia A con inhibidores del factor VIII**

- **Primer anticuerpo biespecífico mimético del factor VIIIa que se investiga para el tratamiento preventivo de personas con hemofilia A.**
- **Novena designación como avance terapéutico decisivo de la cartera de medicamentos de Roche<sup>1-6</sup>.**

Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) ha comunicado hoy que la FDA (autoridad sanitaria de los EE.UU.) ha concedido la designación de avance terapéutico decisivo al medicamento ACE910 (RG6013, RO5534262) para el tratamiento preventivo de personas de 12 o más años de edad con hemofilia A con inhibidores del factor VIII. La hemofilia A, un trastorno genético raro, aparece cuando una proteína esencial para la coagulación de la sangre conocida como factor VIII no está presente en cantidad suficiente o es defectuosa<sup>7</sup>. Las personas con hemofilia A grave pueden sufrir hemorragias incontrolables o difíciles de controlar, incluidas hemorragias internas, sobre todo en las articulaciones, lo que puede obligar a sustituir la articulación afectada<sup>8</sup>.

La designación como avance terapéutico decisivo está pensada para acelerar el desarrollo y la evaluación de medicamentos cuyos datos clínicos tempranos evidencian que pueden constituir una mejora sustancial respecto de las opciones terapéuticas existentes contra enfermedades graves.

En un estudio de fase I<sup>9</sup>, ACE910 mostró resultados prometedores como tratamiento preventivo administrado mediante una inyección subcutánea semanal en pacientes con hemofilia A, algunos de los cuales presentaban inhibidores del factor VIII. El desarrollo de inhibidores es una grave complicación en el tratamiento de la hemofilia A, independientemente de la gravedad de la enfermedad<sup>10</sup>, lo que dificulta o incluso imposibilita alcanzar un nivel suficiente de factor VIII para controlar la hemorragia con los tratamientos sustitutivos tradicionales. El control de las hemorragias en la hemofilia A con inhibidores del factor VIII constituye un importante reto, y siguen siendo necesarias nuevas opciones terapéuticas para estos

pacientes<sup>11</sup>.

«Las personas con hemofilia A pueden requerir frecuentes infusiones intravenosas periódicas de un factor de coagulación sustitutivo para reducir el riesgo de hemorragias peligrosas, y pueden desarrollar inhibidores que hagan ineficaz la sustitución —explica Sandra Horning, directora médica y máxima responsable del área de Desarrollo Internacional de Roche—. Estamos muy contentos de que la FDA haya designado a ACE910 como avance decisivo, reconociendo así una necesidad no cubierta de los pacientes con inhibidores y el valor potencial de estos primeros datos. Roche lleva más de 20 años comprometida con el desarrollo de tratamientos basados en anticuerpos para personas con trastornos hemáticos, y nos alegramos de impulsar el desarrollo de un posible nuevo tratamiento para la hemofilia A».

Roche está preparando el inicio de dos estudios de fase III con ACE910: uno en pacientes con inhibidores del factor VIII antes del final de 2015 y otro en pacientes sin inhibidores en 2016. También está previsto comenzar en 2016 un estudio en pacientes pediátricos con hemofilia A.

La designación de ACE910 como avance terapéutico decisivo se basó en los resultados de un estudio de fase I con ACE910 en personas con hemofilia A grave presentado en el congreso anual de la Sociedad Estadounidense de Hematología (ASH) en 2014 y en un estudio de extensión de fase I/II en esos mismos pacientes presentado en 2015 en el congreso anual de la Sociedad Internacional de Trombosis y Hemostasia (ISTH).

#### **Acerca de ACE910**

ACE910 es un anticuerpo monoclonal biespecífico humanizado, actualmente en investigación, diseñado para ligarse simultáneamente a los factores IXa y X. ACE910 imita así la función de cofactor ejercida por el factor VIII y está diseñado para promover la coagulación de la sangre en pacientes con hemofilia A, independientemente de que presenten o no inhibidores del factor VIII. ACE910 se administra por vía subcutánea una vez a la semana, y, al tener una estructura diferente a la del factor VIII, no se prevé que dé lugar a la formación de inhibidores del factor VIII. El programa de desarrollo de ACE910 está evaluando su potencial a la hora de ayudar a superar algunos de los desafíos clínicos que plantea el tratamiento de la hemofilia, por ejemplo la aparición de inhibidores del factor VIII y la necesidad de un acceso venoso frecuente. ACE910 fue creado por Chugai Pharmaceutical Co., Ltd. y está siendo desarrollado conjuntamente por Roche.

### **Acerca de Roche en hematología**

Roche lleva más de 20 años desarrollando medicamentos redefinidores del tratamiento en hematología. Actualmente estamos investigando más que nunca para proporcionar opciones terapéuticas innovadoras a las personas con enfermedades hemáticas. Además de los medicamentos ya autorizados MabThera®/Rituxan® (rituximab) y Gazyva®/Gazyvaro® (obinutuzumab), la línea de desarrollo hematológico de Roche incluye los siguientes productos: un anticuerpo anti-PDL1 (atezolizumab/MPDL3280A), un conjugado de anticuerpo anti-CD79b y fármaco (RG7596/polatuzumab-vedotina), un antagonista de MDM2 de bajo peso molecular (RG7388/idasanutlina) y un inhibidor de BCL-2 de bajo peso molecular (venetoclax/RG7601/GDC-0199/ABT-199) desarrollado en colaboración con AbbVie. Los esfuerzos de Roche por desarrollar moléculas novedosas en hematología van más allá de la oncología con el desarrollo de ACE910, un tratamiento en investigación para la hemofilia A.

### **Acerca de Roche**

Roche, cuya sede central se halla en Basilea (Suiza), es una compañía líder del sector de la salud, centrada en la investigación y con la potencia combinada de la integración farmacéutica-diagnóstica. Roche es la mayor empresa biotecnológica del mundo y tiene medicamentos auténticamente diferenciados en las áreas de oncología, inmunología, enfermedades infecciosas, oftalmología y neurociencias. Roche también es el líder mundial en diagnóstico *in vitro* y diagnóstico histológico del cáncer, y se sitúa a la vanguardia en el control de la diabetes. La estrategia de Roche en medicina personalizada tiene como fin proporcionar medicamentos y pruebas diagnósticas que hagan posibles mejoras tangibles de la salud, la calidad de vida y la esperanza de vida de los pacientes. Fundada en 1896, Roche lleva más de un siglo contribuyendo de manera importante a mejorar la salud en todo el mundo. La Lista de Medicamentos Esenciales de la Organización Mundial de la Salud contiene 29 medicamentos desarrollados por Roche, entre ellos antibióticos, antipalúdicos y quimioterápicos que salvan vidas.

En el año 2014, el Grupo Roche tenía 88 500 empleados, invirtió 8900 millones de francos suizos en Investigación y Desarrollo y sus ventas alcanzaron la cifra de 47 500 millones de francos suizos. Genentech, en Estados Unidos, es un miembro de plena propiedad del Grupo Roche. Roche es el accionista mayoritario de Chugai Pharmaceutical (Japón). Para más información, consulte la página [roche.com](http://roche.com).

Todas las marcas comerciales mencionadas en este comunicado de prensa están protegidas por la ley.

### **Relaciones con la prensa del Grupo Roche**

Teléfono: +41 -61 688 8888 / Correo electrónico: [roche.mediarelations@roche.com](mailto:roche.mediarelations@roche.com)

- Nicolas Dunant (director)
- Ulrike Engels-Lange
- Štěpán Kráčala
- Nicole Rüppel
- Claudia Schmitt
- Nina Schwab-Hautzinger

#### Referencias

- <sup>1</sup> Roche Media Release. Roche delivers solid results in 2014. Available at: <http://www.roche.com/media/store/releases/med-cor-2015-01-28.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>2</sup> Roche Investor Update. Roche receives U.S. FDA breakthrough therapy designation for ACTEMRA/RoACTEMRA in systemic sclerosis, and will present new study results at EULAR 2015. Available at: <http://www.roche.com/investors/updates/inv-update-2015-06-10.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>3</sup> Roche Investor Update. US FDA grants breakthrough therapy designation for investigational Bcl-2 inhibitor venetoclax in 17p deletion relapsed-refractory chronic lymphocytic leukemia. Available at: <http://www.roche.com/investors/updates/inv-update-2015-05-07.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>4</sup> Roche Investor Update. U.S. FDA grants Breakthrough Therapy Designation for Roche's investigational cancer immunotherapy MPDL3280A (anti-PDL1) in non-small cell lung cancer. Available at: <http://www.roche.com/investors/updates/inv-update-2015-02-02.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>5</sup> Roche Investor Update. FDA grants Roche's obinutuzumab (GA101) Priority Review for previously untreated chronic lymphocytic leukemia (CLL). Available at: <http://www.roche.com/investors/updates/inv-update-2013-07-03.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>6</sup> Roche Media Release. Roche's investigational medicine alectinib shrank tumours in nearly half of people with specific type of lung cancer. Available at: <http://www.roche.com/media/store/releases/med-cor-2015-05-14.htm>. Last accessed July 2015.
- <sup>7</sup> National Hemophilia Foundation, Hemophilia A. Available at: <http://www.hemophilia.org/Bleeding-Disorders/Types-of-Bleeding-Disorders/Hemophilia-A>. Last accessed July 2015.
- <sup>8</sup> K. Knobe and Bentorp, E. Haemophilia and joint disease: pathophysiology, evaluation, and management. *Journal of Comorbidity* 2011; 1: 51-59.
- <sup>9</sup> Shima et al. Safety and Prophylactic Efficacy Profiles of ACE910, a Humanized Bispecific Antibody Mimicking the FVIII Cofactor Function in Japanese Hemophilia A Patients Both without and with FVIII inhibitors: First-in-Patient Phase 1 Study. *Blood* (ASH annual meeting abstracts) 2014; Abstract 691.
- <sup>10</sup> Astermark, J. Overview of Inhibitors. *Semin Hematol* 2006; 43(suppl 4):S3-S7;
- <sup>11</sup> Kempton, CL and White, GC. How we treat a hemophilia A patient with a factor VIII inhibitor. *Blood* 2009; 113: 11-17.