

18 ottobre 2021

All'attenzione dell'Associazione AISLA.

Buongiorno,

come da vostra richiesta vi scriviamo per informarvi circa i risultati dello studio di fase 3 VALOR su tofersen (BIIB067), farmaco sperimentale per le persone colpite da Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) con mutazione del gene SOD1, presentati ieri al congresso annuale dell'American Neurological Association.

I dati hanno evidenziato che non è stato raggiunto l'endpoint primario alla settimana 28 della Scala di Valutazione Funzionale della SLA (Revised Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale o ALSFRS-R). E' stata inoltre osservata una tendenza positiva di tofersen su diversi indicatori secondari e parametri di funzioni biologiche e cliniche mostrando che le persone trattate precocemente hanno avuto risultati migliori. Infine, la maggior parte degli eventi avversi rilevati sono stati di grado lieve o moderato.

Biogen sta coinvolgendo le autorità regolatorie e la comunità scientifica e di pazienti per definire i possibili passi successivi del percorso del farmaco.

In considerazione dell'elevato bisogno clinico insoddisfatto, Biogen ha deciso di ampliare l'accesso anticipato del farmaco, attualmente disponibile per i pazienti che presentano una progressione più veloce, a tutti i pazienti che presentano la mutazione SOD1. Tale ampliamento sarà soggetto alle valutazioni previste da ciascuna normativa nazionale. A seconda dell'evoluzione del percorso del farmaco, Biogen potrà revisionare o interrompere l'accesso anticipato in qualsiasi momento.

In Biogen, siamo consapevoli della impellente necessità delle persone colpite da SLA di trattamenti in grado di combattere questa devastante patologia. Vogliamo quindi ribadire la nostra più sincera e profonda gratitudine verso i pazienti e le famiglie di tutti i partecipanti allo studio, verso i medici e lo staff clinico che li ha seguiti, e verso tutta la comunità SLA che ha contribuito allo studio VALOR.

Cordiali saluti,
Biogen