

## **RECORDATI: CARBAGLU riceve l'approvazione della FDA statunitense per una nuova indicazione per il trattamento dell'iperammoniemia acuta dovuta ad acidemia propionica e acidemia metilmalonica**

*Milano, 26 gennaio 2020* – Recordati, attraverso la sua filiale statunitense Recordati Rare Diseases Inc., annuncia che la Food and Drug Administration (FDA) statunitense ha approvato una nuova indicazione per CARBAGLU® (acido carginico) compresse da 200 mg, come trattamento aggiuntivo alla terapia di base dell'iperammoniemia acuta da acidemia propionica (AP) o da acidemia metilmalonica (MMA) in pazienti pediatrici e adulti.

CARBAGLU è il primo e unico farmaco approvato dalla FDA per il trattamento dell'iperammoniemia acuta dovuta a AP e MMA. CARBAGLU è stato inizialmente approvato dalla FDA per il deficit di N-acetilglutammato sintasi (NAGS), un altro raro disturbo metabolico, come trattamento aggiuntivo alla terapia di base dell'iperammoniemia acuta da deficit di NAGS e come terapia di mantenimento per il trattamento dell'ammoniemia cronica dovuta alla carenza di NAGS.

AP e MMA sono disturbi metabolici ereditari rari che provocano la disfunzione di una fase specifica del metabolismo degli amminoacidi, o del metabolismo di alcuni acidi grassi, a causa della carente attività enzimatica. Di conseguenza, si accumulano metaboliti tossici, che possono causare iperammoniemia, una condizione potenzialmente letale. Carbaglu agisce come sostituto dell' N-acetilglutammato (NAG) nei pazienti con deficit di NAGS, AP e MMA attivando l'enzima carbamilfosfato sintetasi (CPS 1) e migliora o ripristina la funzione del ciclo dell'urea, facilitando la disintossicazione da ammoniaca e la produzione di urea.

"Ci sono pochi farmaci approvati per il trattamento dell'iperammoniemia e nessuno che sia indicato per il trattamento dell'iperammoniemia acuta nei pazienti affetti da AP e MMA", ha affermato Mendel Tuchman, medico genetista e professore emerito di pediatria presso la George Washington University School of Medicine and Health Science. "Carbaglu ha le potenzialità per avere un effetto benefico su questi pazienti riducendo i livelli di ammoniaca nel plasma durante le fasi critiche della malattia".

L'approvazione da parte della FDA della nuova indicazione è stata supportata da uno studio clinico randomizzato multicentrico, in doppio cieco, controllato con placebo, che ha confrontato l'efficacia di CARBAGLU verso il placebo nel trattamento di episodi di iperammoniemia in pazienti con AP o MMA. La valutazione dell'efficacia, basata su 90 episodi di iperammoniemia verificatisi in 24 pazienti, ha dimostrato che i pazienti che assumevano CARBAGLU hanno mostrato una riduzione più rapida dei livelli di ammonio rispetto ai pazienti che ricevevano il placebo. L'endpoint primario era il tempo più breve intercorso tra la prima dose ed il raggiungimento di livelli di ammonio nel sangue inferiore a 50 micromol / L o la dimissione dall'ospedale. Durante i primi tre giorni di trattamento, una percentuale maggiore di episodi trattati con CARBAGLU ha raggiunto l'endpoint primario rispetto agli episodi trattati con placebo.

Nello studio clinico, è stata segnalata almeno 1 reazione avversa nel 42,2% dei 90 episodi di iperammoniemia verificatisi. Gli eventi avversi più comuni sono stati ( $\geq 5\%$ ) neutropenia, anemia, vomito, squilibrio elettrolitico, diminuzione dell'appetito, ipoglicemia, letargia / stupore, encefalopatia e aumento della pancreatite / lipasi.

### **RECORDATI INDUSTRIA CHIMICA E FARMACEUTICA S.p.A.**

Sede Legale  
VIA M. CIVITALI, 1  
20148 MILANO, ITALIA  
TEL. (39) 0248787.1  
FAX (39) 0240073747

CAPITALE SOCIALE € 26.140.644,50 i.v.  
REG. IMP. MILANO, MONZA, BRIANZA e LODI 00748210150  
CODICE FISCALE/P. IVA 00748210150  
R.E.A. MILANO 401832



# RECORDATI

"Le persone che convivono con questa malattia si trovano ad affrontare complicazioni da iperammoniemia potenzialmente gravi che, senza trattamento, possono portare al coma o addirittura alla morte", ha affermato Andrea Recordati, CEO di Recordati S.p.A. "Siamo lieti di ricevere questa nuova indicazione per Carbaglu che consentirà a Recordati di far fronte a un bisogno medico insoddisfatto in questi pazienti".

## **Informazioni sull'acidemia propionica (PA) e l'acidemia metilmalonica (MMA)**

L'acidemia propionica (AP) e l'acidemia metilmalonica (MMA) sono malattie metaboliche ereditarie rare. La AP è causata da un deficit di attività dell'enzima propionil-CoA carbossilasi. La maggior parte dei pazienti affetti da AP presenta sintomi nei primi giorni di vita.

La MMA deriva da diversi tipi di carenze o difetti enzimatici. La causa più comune è legata al deficit completo o parziale dell'attività dell'enzima metilmalonil-CoA mutasi. Entrambi i casi, la completa mancanza di enzima o attività enzima molto ridotta, sono motivo di sintomi più gravi.

L'iperammoniemia è uno degli eventi più gravi e potenzialmente letali che possono verificarsi nei pazienti con AP o MMA. L'iperammoniemia è un'emergenza medica che, se non trattata, può progredire fino a danni cerebrali irreversibili, coma o morte.

*Recordati (Reuters RECI.MI, Bloomberg REC IM), fondata nel 1926, è un gruppo farmaceutico internazionale, quotato alla Borsa Italiana (ISIN IT 0003828271), con più di 4.300 dipendenti, che si dedica alla ricerca, allo sviluppo, alla produzione e alla commercializzazione di prodotti farmaceutici. Ha sede a Milano, e attività operative in tutti i paesi Europei, compresa la Russia, in Turchia, Nord Africa, Stati Uniti d'America, Canada, Messico, alcuni paesi del Sud America, Giappone e Australia. Un'efficiente rete di informatori scientifici del farmaco promuove un'ampia gamma di farmaci innovativi, sia originali sia su licenza, appartenenti a diverse aree terapeutiche compresa un'attività specializzata nelle malattie rare. Recordati si propone come partner di riferimento per l'acquisizione di nuove licenze per i suoi mercati. Recordati è impegnata nella ricerca e sviluppo di farmaci innovativi e in particolare di terapie per malattie rare. I ricavi consolidati nel 2019 sono stati pari a € 1.481,8 milioni, l'utile operativo è stato pari a € 465,3 milioni e l'utile netto è stato pari a € 368,9 milioni.*

Per ulteriori informazioni:

Sito Recordati: [www.recordati.it](http://www.recordati.it)

### Investor Relations

Federica De Medici

(39)0248787146

e-mail: [investorelations@recordati.it](mailto:investorelations@recordati.it)

### Ufficio Stampa

Studio Noris Morano

(39)0276004736, (39)0276004745

e-mail: [norismorano@studionorismorano.com](mailto:norismorano@studionorismorano.com)

*Questa comunicazione contiene valutazioni e ipotesi su fatti futuri ("forward-looking statements" nel significato di cui all'U.S. Private Securities Litigation Reform Act del 1995) che riflettono la migliore stima in base a quanto attualmente noto. Tali valutazioni e ipotesi, tuttavia, dipendono anche da numerosi fattori esterni, fuori dal controllo della società, e da avvenimenti incerti, che sono soggetti a numerosi rischi. I risultati futuri potrebbero differire anche sensibilmente da quanto espresso o deducibile da questa comunicazione. Le citazioni e descrizioni di "specialità etiche Recordati", soggette a prescrizione medica, vengono date solo per informare gli azionisti sull'attività della Società e non hanno alcun intendimento né di promuovere né di consigliare l'uso delle specialità stesse.*