



ABRIL
2020

BioMarin planea presentaciones regulatorias para autorización de comercialización de Vosoritida para tratar Niños con acondroplasia en el 3T 2020 en ambos Estados Unidos y Europa

Si se aprueba, vosoritida sería el primer medicamento para el tratamiento de la acondroplasia en los EE. UU. Y UE

SAN RAFAEL, California, 6 de abril de 2020 / PRNewswire / - BioMarin Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: BMRN)

Anunció hoy que, en base a reuniones recientes con autoridades sanitarias en los EE. UU. y Europa, la Compañía planea presentar solicitudes de comercialización a la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) y a la Unión Europea Agencia de Medicamentos (EMA) en el tercer trimestre de 2020 para vosoritida. La vosoritida es una investigación, una vez análogo de inyección diaria de péptido natriurético de tipo C (CNP) para la acondroplasia, la forma más común de baja estatura desproporcionada en humanos.

Las aplicaciones de marketing se basan en los resultados de estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo de Fase 3 Evaluación de la eficacia y seguridad de vosoritida, anunciada en diciembre. 2019, y respaldado por la seguridad y eficacia a largo plazo del estudio de Fase 2, extensión en curso estudios y extensos datos de historia natural. Si se aprueba, vosoritida sería el primer medicamento para Tratamiento de la acondroplasia en los Estados Unidos y Europa.

"Hemos trabajado con las autoridades reguladoras a lo largo del diseño y desarrollo de nuestra clínica programa y esperamos las interacciones en curso en la evaluación de la seguridad y eficacia de vosoritida en niños con acondroplasia ", dijo Hank Fuchs, M.D., Presidente de Investigación Mundial y Desarrollo en BioMarin. "Creemos que tenemos un paquete de datos sólido que combina el estándar de oro de un estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo de Fase 3 con los resultados a largo plazo en la Fase 2

Estudio de etiqueta abierta y extensos datos contemporáneos de historia natural para evaluar la durabilidad. Estamos agradecidos a los niños y familias que han participado en estos estudios y están contribuyendo al mayor cuerpo de datos científicos sobre un posible tratamiento para la acondroplasia ".

"La vosoritida es el primer tratamiento farmacológico potencial para la causa subyacente de la acondroplasia. Podría ser un gran avance médico al proporcionar a los médicos una nueva

herramienta para tratar a las personas con acondroplasia", dijo John A. Phillips, III, MD, Vanderbilt University Medical Center (David T Karzon Profesor de Pediatría) e investigador del programa clínico vosoritida. "Tener un tratamiento tan posible para la acondroplasia en el horizonte, donde antes no existía, es un progreso significativo".

"Estamos dando grandes pasos para comprender la biología de la displasia esquelética y acercarnos a un posible tratamiento", dijo Klaus Mohnike, profesor de pediatría en el Hospital de la Universidad de Magdeburg en Alemania e investigador del programa clínico de vosoritida. "Espero con interés las intervenciones terapéuticas que van más allá del tratamiento de los síntomas y tienen el potencial de marcar una diferencia duradera para los niños afectados".

Vosoritida ha recibido la designación de medicamento huérfano de la FDA y la EMA para el tratamiento de la acondroplasia. El programa de designación de medicamentos huérfanos tiene como objetivo avanzar en la evaluación y el desarrollo de productos que demuestren ser prometedores para el diagnóstico y / o tratamiento de enfermedades raras o Condiciones

Descripción del estudio de fase 3

El estudio global de Fase 3 fue un estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo de vosoritida en 121 niños con acondroplasia de 5 a 14 años durante 52 semanas. (Los criterios de edad de inscripción fueron de 5 a 18 años según el protocolo del estudio). Vosoritida se está probando en niños cuyas placas de crecimiento aún están abiertas. Esto es aproximadamente el 25% de las personas con acondroplasia. Los niños en este estudio han completado un estudio de referencia mínimo de seis meses para determinar su velocidad de crecimiento de referencia antes de ingresar a la fase 3. El objetivo primario del estudio fue el cambio en la velocidad de crecimiento desde el inicio durante un año en niños tratados con vosoritida en comparación con placebo. Una amplia gama de puntos finales secundarios y exploratorios incluyeron medidas antropométricas como la puntuación Z de altura, la proporcionalidad del cuerpo y las extremidades y la geometría de las articulaciones; evaluaciones bioquímicas, biomarcadoras y radiológicas del crecimiento y la salud ósea; y evaluaciones de la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS), el estado de desarrollo y la independencia funcional. Estos puntos finales adicionales abordan el impacto general que tiene vosoritida en la acondroplasia y continúan siendo evaluados en un estudio de extensión abierto en curso donde todos los sujetos reciben tratamiento activo.

Descripción del estudio de búsqueda de dosis de fase 2

Los objetivos principales del estudio abierto de cohorte secuencial y de búsqueda de dosis fueron evaluar la seguridad y tolerabilidad de la vosoritida subcutánea diaria y determinar la dosis para llevar a la Fase 3. Los objetivos secundarios fueron evaluar los efectos de la vosoritida en el cambio desde el inicio del tratamiento previo en velocidad de crecimiento anualizada (cm / año), puntajes Z de altura y proporcionalidad del segmento corporal, el perfil farmacocinético de vosoritida (PK) y biomarcadores de actividad vosoritida y osificación endocondral. Todos los niños que completaron el estudio de búsqueda de dosis de 24 meses fueron elegibles para continuar el seguimiento a largo plazo en el estudio de extensión en curso que proporciona evidencia a largo plazo de eficacia, durabilidad del efecto y seguridad.

Sobre la acondroplasia

La acondroplasia, la forma más común de estatura baja desproporcionada en humanos, se caracteriza por la desaceleración de la osificación endocondral, lo que resulta en una estatura baja desproporcionada y una arquitectura desordenada en los huesos largos, la columna vertebral, la cara y la base del cráneo. Esta condición es causada por una mutación en el gen del receptor 3 del factor de crecimiento de fibroblastos (FGFR3), un regulador negativo del crecimiento óseo. Más allá de la baja estatura desproporcionada, las personas con acondroplasia pueden experimentar serias complicaciones de salud, que incluyen compresión del foramen magnum, apnea del sueño, piernas arqueadas, hipoplasia de la cara media, oscilación permanente de la espalda baja, estenosis espinal e infecciones recurrentes del oído. Algunas de estas complicaciones pueden resultar en la necesidad de cirugías invasivas como la descompresión de la médula espinal y el estiramiento de las piernas arqueadas. Además, los estudios muestran una mayor mortalidad a todas las edades.

Más del 80% de los niños con acondroplasia tienen padres de estatura promedio y tienen la condición como resultado de una mutación genética espontánea. La tasa de incidencia mundial de acondroplasia es de aproximadamente uno de cada 25,000 nacimientos vivos. Vosoritida se está probando en niños cuyas placas de crecimiento aún están "abiertas", por lo general, los menores de 18 años. Esto es aproximadamente el 25% de las personas con acondroplasia. En los Estados Unidos, Europa, América Latina, Medio Oriente y la mayor parte de Asia Pacífico, actualmente no hay medicamentos con licencia para la acondroplasia.

Sobre BioMarin

BioMarin es una compañía global de biotecnología que desarrolla y comercializa terapias innovadoras para pacientes con enfermedades genéticas raras graves y potencialmente mortales. La cartera de la compañía consta de seis productos comercializados y múltiples candidatos a productos clínicos y preclínicos. Para adicional

información, visite www.biomerin.com. La información en dicho sitio web no se incorpora como referencia en este comunicado de prensa.

Declaración a futuro

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas sobre las perspectivas comerciales de BioMarin Pharmaceutical Inc. (BioMarin), incluidas, entre otras, declaraciones sobre: El programa de desarrollo de vosoritida de BioMarin en general y específicamente sobre las presentaciones planificadas de la Compañía para aplicaciones de marketing en los EE. UU. A la FDA y en Europa a la EMA, la solidez del paquete de datos que se presentará a las autoridades reguladoras, el desarrollo clínico continuo de vosoritida y el momento y la conducta de dicho programa clínico; los posibles resultados de dichos estudios y el momento en que se envían las solicitudes de comercialización a las autoridades sanitarias de EE. UU. y Europa. Estas declaraciones prospectivas son predicciones e implican riesgos e incertidumbres de tal manera que los resultados reales pueden diferir materialmente de estas declaraciones. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otros: el análisis final de los datos de la Fase 3, los resultados y el momento de los estudios preclínicos y ensayos clínicos actuales y planificados de vosoritida; nuestra capacidad para fabricar con éxito vosoritida; el contenido y el momento de las decisiones de la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU., la Comisión Europea y otras autoridades reguladoras con respecto a vosoritida; y esos otros riesgos e incertidumbres detallados de vez en cuando bajo el título "Factores de riesgo" y en

otras partes de las presentaciones de la Comisión de Bolsa y Valores de BioMarin (SEC), incluido, entre otros, el Informe trimestral de BioMarin en el Formulario 10-K para el año que finalizó en diciembre 31, 2019 y futuras presentaciones e informes ante la SEC por BioMarin. BioMarin no asume ningún deber ni obligación de actualizar las declaraciones prospectivas contenidas en este comunicado de prensa como resultado de nueva información, eventos futuros o cambios en sus expectativas.

BioMarin® es una marca registrada de BioMarin Pharmaceutical Inc.

Contactos: Investors Media Traci McCarty Debra Charlesworth BioMarin Pharmaceutical Inc.
BioMarin Pharmaceutical Inc. (415) 455-7558 (415) 455-7451

FUENTE BioMarin Pharmaceutical Inc.