



bluebird bio annuncia la raccomandazione positiva del PRAC per quanto riguarda la Revisione della Sicurezza in base all'articolo 20 (Safety Referral Review) per ZYNTGLO™, terapia genica per la β-talassemia trasfusione-dipendente, e la ripresa della commercializzazione nell' UE

Il Comitato di Valutazione dei rischi per la farmacovigilanza (PRAC) dell'EMA conferma il favorevole rapporto rischio/beneficio di ZYNTGLO

L'azienda ha informato l'EMA della revoca della sospensione volontaria e temporanea della commercializzazione

ZUG, Svizzera - 12 luglio 2021 - bluebird bio, Inc. (Nasdaq: BLUE) ha annunciato oggi che il Comitato di valutazione dei rischi per la farmacovigilanza (PRAC) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha concluso, sulla base della revisione di tutti i dati disponibili, che il rapporto rischio/beneficio dei prodotti medicinali contenenti ZYNTGLO™ (terapia genica betibeglogene autotemcel) rimane favorevole. bluebird bio ha informato l'EMA che intende revocare da oggi la sospensione volontaria.

"La sicurezza dei pazienti rimane la nostra massima priorità. Per questo motivo, siamo grati al PRAC per la revisione completa delle evidenze disponibili e per la raccomandazione positiva per ZYNTGLO", ha dichiarato Andrew Obenshain, presidente, malattie genetiche gravi, bluebird bio. "Siamo lieti di tornare ad offrire ZYNTGLO ai pazienti affetti da β-talassemia trasfusione-dipendente e la possibilità di vivere liberi dalle trasfusioni, come dimostrano i nostri studi clinici in cui i pazienti mantengono livelli di emoglobina normali o quasi normali nel corso di un follow-up fino a sette anni".

Non sono stati segnalati casi di tumori ematologici maligni in nessun paziente trattato con ZYNTGLO. Tuttavia, poiché è prodotto utilizzando lo stesso vettore lentivirale BB305 impiegato in LentiGlobin per la anemia falciforme (SCD; prodotto farmaceutico sperimentale bb1111), bluebirdbio aveva deciso di sospendere temporaneamente la commercializzazione di ZYNTGLO. Contemporaneamente, la causa principale degli eventi di sicurezza segnalati all'inizio di quest'anno per LentiGlobin nella SCD veniva studiata dall'azienda e valutata dal PRAC.



Come precedentemente annunciato il 7 giugno 2021, la Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti ha revocato le sospensioni cliniche per gli studi di Fase 1/2 HGB-206 e di Fase 3 HGB-210 di LentiGlobin nella SCD in seguito alla revisione dei dati da parte dell'Agenzia.

La raccomandazione del PRAC può essere visualizzata sul sito web dell'EMA. Il prossimo passo sarà l'inoltro della raccomandazione al Comitato per le terapie avanzate (CAT) e al Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) affinché venga adottata. La fase finale della procedura di revisione è l'adozione da parte della Commissione europea (CE) di una decisione legalmente vincolante applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE.

###

ZYNTGLO (betibeglogene autotemcel; beti-cel)

Zynteglo è un trattamento da somministrare una sola volta per una malattia del sangue nota come beta talassemia in pazienti di età pari o superiore a 12 anni che necessitano di frequenti trasfusioni di sangue.

Per produrre Zynteglo, le cellule staminali prelevate dal sangue del paziente vengono modificate utilizzando un virus che inserisce copie funzionanti del gene della beta-globina in tali cellule. Quando queste cellule modificate vengono re-infuse nel paziente, esse vengono trasportate dal flusso sanguigno al midollo osseo dove iniziano a produrre globuli rossi sani in grado di produrre beta-globina. Gli effetti di questo trattamento dovrebbero durare per tutta la vita del paziente.

Zynteglo ha ottenuto un'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata a maggio 2019. Ciò significa che devono essere fornite ulteriori prove sul medicinale, che l'azienda è tenuta a presentare. L'EMA esamina regolarmente qualsiasi nuova informazione che si renda disponibile.

bluebird bio, Inc.

Bluebird Bio, Inc. (NASDAQ: BLUE) è un pioniere della terapia genica con finalità mirate. Dalla sede centrale di Cambridge, Massachusetts, sviluppiamo terapie geniche per le malattie genetiche gravi e per il cancro, con l'obiettivo di permettere alle persone che si trovano ad affrontare condizioni potenzialmente



fatali con opzioni terapeutiche limitate di vivere pienamente la propria vita. Oltre alle attività dei laboratori, ci adoperiamo per modificare in senso positivo il sistema sanitario al fine di aumentare l'accesso, la trasparenza e l'educazione per mettere la terapia genica a disposizione di tutti coloro che ne possono trarre beneficio.

bluebird bio è un'azienda di persone alimentata dalle storie delle persone. Appliciamo la nostra cura ed esperienza a una serie di disturbi, tra cui l'adrenoleucodistrofia cerebrale, l'anemia falciforme, la β -talassemia e il mieloma multiplo, utilizzando tre tecnologie per la terapia genica: l'addizione genica, la terapia cellulare e l'editing genico (abilitato al megaTAL).

bluebird bio opera anche nelle sedi di Seattle, Wash.; Durham, N.C.; e Zug, Switzerland; per maggiori informazioni, visitate bluebirdbio.it

ZYNTEGLO e bluebird bio sono marchi commerciali di bluebird bio, Inc.

Investitori:

Elizabeth Pingpank, 617-914-8736

epingpank@bluebirdbio.com

oppure

Media:

Claudia Nabaie, +41 79 906 5814

cnabaie@bluebirdbio.com

###