



#### **DA FDA 'PRIORITY REVIEW' A NUOVO FARMACO CONTRO CISTINOSI**

(AGI) - Roma , 17 mag. - Via libera dell'Fda americana alla domanda per l'immissione in commercio di un nuovo farmaco contro la cistinosi, una rara patologia della cornea. Si tratta di una soluzione oftalmica a base di cisteamina cloridrato, una terapia sperimentale messa a punto da Sigma-Tau per il trattamento del deposito di cristalli di cistina nella cornea in pazienti affetti da cistinosi. La FDA ha inoltre concesso la Priority Review (procedura di valutazione prioritaria), uno stato attribuito ai farmaci in grado di consentire importanti progressi o di offrire un trattamento nei casi in cui non esiste ancora una terapia adeguata. La cistinosi e' una rara patologia che interessa all'incirca 300 persone negli Stati Uniti. L'Azienda e' assegnataria di una Orphan Drug Designation (stato di farmaco orfano) per questo prodotto e ha in precedenza ottenuto fondi da parte della Orphan Drug Product Division della FDA per il finanziamento della ricerca sul trattamento. Qualora ottenesse l'approvazione, il farmaco rappresenterebbe il primo trattamento approvato dalla FDA per il deposito di cristalli di cistina nella cornea, disturbo che puo' provocare alterazioni dell'acuita' visiva e fotofobia (sensibilita' alla luce). "L'accettazione della NDA segna un'importante svolta sia per Sigma-Tau, sia per la comunita' dei pazienti affetti da cistinosi", ha dichiarato Gregg Lapointe, Chief Executive Officer di Sigma-Tau Pharmaceuticals. "Se approvato, il trattamento offrira' la possibilita' di apportare importanti benefici a pazienti - molti dei quali sono bambini - le cui cure sono state finora limitate a causa della mancanza di opzioni terapeutiche e di una loro accessibilita'". La NDA comprende dati tratti da studi clinici condotti presso il National Eye Institute del National Institute of Health (NIH), i cui risultati indicano che la somministrazione di gocce oculari di cisteamina cloridrato puo' risultare efficace ai fini della prevenzione e del trattamento del deposito di cristalli di cistina nella cornea. "La cistinosi e' una malattia devastante, a causa della quale, fin troppo spesso, i bambini vengono privati di una vista normale", ha affermato Christy Greeley, Presidente e Direttore Esecutivo di Cystinosis Research Network, Inc. "Siamo entusiasti all'idea di una nuova e accessibile opzione di trattamento per i nostri bambini".