

June 26, 2026

Malattie rare – Dal CHMP parere positivo per trofinetide per il trattamento della sindrome di Rett

-- La decisione della Commissione europea è prevista nei prossimi mesi

-- Se approvato, trofinetide sarebbe il primo trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett nell'Unione Europea

SAN DIEGO--([BUSINESS WIRE](#))-- Acadia Pharmaceuticals Inc. ha annunciato oggi che il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha espresso un parere positivo riguardo alla concessione dell'autorizzazione all'immissione in commercio di trofinetide per il trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett in pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 5 anni. Se approvato dalla Commissione europea, trofinetide sarebbe il primo trattamento dei sintomi neurocomportamentali della sindrome di Rett nell'Unione Europea (UE).

"L'opinione positiva del CHMP per trofinetide è un importante traguardo nella nostra missione di portare questa terapia innovativa alle persone che vivono con la sindrome di Rett in tutta Europa. Per troppo tempo, le famiglie che vivono con la sindrome di Rett non hanno avuto a disposizione alcuna terapia approvata specificamente per questa condizione devastante. - commenta Catherine Owen Adams CEO di Acadia - Siamo determinati a fare la differenza nella vita dei pazienti, dei caregiver e di tutta la comunità Rett, dando risposte a bisogni medici significativi e ancora insoddisfatti e accogliamo con grande soddisfazione il risultato di questo processo di riesame".

La raccomandazione del CHMP si basa principalmente sui risultati dello studio di fase 3 LAVENDER, che ha dimostrato miglioramenti statisticamente e clinicamente significativi nelle caratteristiche principali della sindrome di Rett, misurati mediante il questionario sul comportamento della sindrome di Rett (RSBQ) e la scala dell'impressione clinica globale di miglioramento (CGI-I). Questi risultati indicano che il trattamento con trofinetide può agire su alcuni degli aspetti più gravosi della sindrome di Rett, che incidono negativamente sulla qualità della vita dei pazienti e dei loro caregiver.

"Per decenni, le famiglie europee colpite dalla sindrome di Rett non hanno avuto a disposizione alcuna opzione di trattamento approvata, anche se questa condizione invalidante causa una grave compromissione in diverse aree e colpisce quasi ogni aspetto della vita dei pazienti. - spiega Pedro Rocha, Presidente di Rett Syndrome Europe - L'opinione positiva del CHMP rappresenta una speranza per le migliaia di persone che vivono con questa condizione devastante, le loro famiglie e i loro caregiver".

In seguito alla raccomandazione del CHMP, la Commissione europea esaminerà il parere e si prevede che emetterà una decisione finale nei prossimi mesi. L'approvazione di trofinetide sarebbe valida in tutti i 27 stati membri dell'UE, oltre che in Islanda, Liechtenstein e Norvegia.

Informazioni sulla sindrome di Rett

La sindrome di Rett è un raro disturbo neuroevolutivo complesso che si manifesta in circa una su 10.000-15.000 nate di sesso femminile in tutto il mondo.¹⁻³ Una bambina affetta da sindrome di Rett mostra generalmente un periodo precoce di sviluppo apparentemente normale fino a 6-18 mesi, quando molte delle sue capacità sembrano rallentare o stagnare. Ciò è solitamente seguito da una fase di regressione, quando la bambina perde le capacità di comunicazione acquisite e l'uso intenzionale delle mani. La bambina può quindi manifestare un periodo di *plateau*, in cui potrebbe mostrare un lieve recupero negli interessi cognitivi, ma i movimenti del corpo rimangono gravemente ridotti. Con l'avanzare dell'età, le persone che convivono con Rett possono continuare a manifestare uno stadio di peggioramento motorio, che può durare per il resto della vita.² La sindrome di Rett è solitamente causata da una mutazione genetica sul gene *MeCP2*.⁴ Negli studi preclinici, si ritiene che il deficit della funzione di MeCP2 determini una compromissione della comunicazione sinaptica e della plasticità cerebrale, e i deficit della funzione sinaptica possono essere associati alle manifestazioni di Rett.⁴⁻⁶

Le caratteristiche della sindrome di Rett possono anche includere lo sviluppo di stereotipie delle mani, come torcere e battere le mani, e anomalie dell'andatura.⁷ La maggior parte delle persone che convivono con la sindrome di Rett solitamente vive fino all'età adulta e richiede un'intensa assistenza continuativa.^{1,8}

Informazioni su trofinetide

Trofinetide è un analogo sintetico del tripeptide N-terminale del fattore 1 di crescita insulino-simile.

Informazioni su Acadia Pharmaceuticals

Acadia si impegna a trasformare la promessa scientifica in un'innovazione significativa, che fa la differenza per le comunità con

malattie neurologiche come la malattia di Parkinson e rare di tutto il mondo, spesso dimenticate e prive di risposte ad ampi bisogni medici ancora insoddisfatti. Lavoriamo allo sviluppo di un'imminente ondata di progressi terapeutici con una pipeline solida e diversificata, che include programmi di ricerca e sviluppo in fase intermedia e avanzata relativi alla psicosi nella malattia di Alzheimer e nella demenza a corpi di Lewy, insieme a programmi in fase iniziale che affrontano altri bisogni dei pazienti, che oggi non hanno risposte. Acadia vuole fare la differenza. Per ulteriori informazioni, visitate il sito [acadia.com](https://www.acadia.com) e seguiteci su [LinkedIn](#) e [X](#).

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene dichiarazioni previsionali ai sensi del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Le dichiarazioni previsionali includono tutte le affermazioni diverse da quelle di natura storica e possono essere identificate da termini quali "può", "sarà", "dovrebbe", "potrebbe", "intendere", "si aspetta", "pianifica", "prevede", "ritiene", "stima", "proietta", "pronostica", "potenziale", "guidance", "continuare" e altre espressioni simili (incluse le forme negative) volte a identificare dichiarazioni previsionali.

Le dichiarazioni previsionali contenute in questo comunicato stampa includono, a titolo esemplificativo ma non esaustivo, dichiarazioni relative alla prevista o potenziale approvazione di trofinetide da parte della Commissione Europea, inclusa la tempistica potenziale di tale approvazione, e, qualora approvati, i potenziali benefici di trofinetide come trattamento dei sintomi neurocomportamentali della Sindrome di Rett e l'importanza di trofinetide per pazienti, caregiver e la comunità Rett.

Le dichiarazioni previsionali sono soggette a rischi noti e ignoti, incertezze, ipotesi e altri fattori che potrebbero far sì che i risultati, le prestazioni o i traguardi effettivi differiscano in modo significativo e negativo da quelli previsti o impliciti nelle dichiarazioni previsionali. Tali rischi, incertezze e altri fattori includono, a titolo esemplificativo ma non esaustivo: l'incertezza intrinseca relativa allo sviluppo dei candidati farmaco, inclusa l'approvazione di trofinetide da parte della Commissione Europea; la nostra dipendenza dalla continua commercializzazione con successo dei nostri prodotti e la nostra capacità di mantenere o aumentare le vendite degli stessi; la nostra capacità di ottenere le necessarie autorizzazioni regolatorie per commercializzare i nostri prodotti e candidati prodotto; l'accettazione da parte del mercato dei nostri prodotti, qualora approvati, e la nostra capacità di continuare a rispettare le leggi e normative applicabili.

Alla luce di tali rischi e incertezze, non si dovrebbe fare eccessivo affidamento su queste dichiarazioni previsionali. Per una discussione di questi e altri rischi, incertezze e fattori che potrebbero comportare differenze nei risultati, nelle prestazioni o nei traguardi effettivi, si rimanda al nostro rapporto trimestrale su Form 10-Q per il periodo concluso il 31 marzo 2026, depositato il 7 maggio 2026, nonché ai successivi depositi presso la Securities and Exchange Commission effettuati di volta in volta.

Le dichiarazioni previsionali qui contenute sono rese alla data del presente documento e non assumiamo alcun obbligo di aggiornarle successivamente a tale data, salvo quanto richiesto dalla legge.

BIBLIOGRAFIA

¹ Fu C, Armstrong D, Marsh E, et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:e000717.

² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.

³ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J Med Econ*. 2023;26(1):1570–1580.

⁴ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.

⁵ Fukuda T, Itoh M, Ichikawa T, et al. Delayed maturation of neuronal architecture and synaptogenesis in cerebral cortex of Mecp2-deficient mice. *J Neuropathol Exp Neurol*. 2005; 64(6):537-544.

⁶ Asaka Y, Jugloff DG, Zhang L, et al. Hippocampal synaptic plasticity is impaired in the Mecp2-null mouse model of Rett syndrome. *Neurobiol Dis*. 2006; 21(1):217-227.

⁷ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010; 68(6):944-950.

⁸ Tarquinio DO, Hou W, Neul JL, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5):402-411.

⁹ Acadia Pharmaceuticals Inc., Data on file. Study Report 2566-026. 2010.

Contacts

Contatto per i media:

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Deb Kazenelson

(818) 395-3043

media@acadia-pharm.com