



# INFORMAZIONE

**RECORDATI ACQUISISCE ORPHAN EUROPE, GRUPPO EUROPEO SPECIALIZZATO NELLE MALATTIE RARE**



# ORPHAN EUROPE, UNA SOCIETA' CHE CRESCE IN UN MERCATO IN CRESCITA

- Una primaria società farmaceutica europea dedicata alle malattie rare
- Opera in un mercato di nicchia con significativo potenziale di crescita
- Con un portafoglio prodotti ben equilibrato,
  - e una promettente *pipeline* di prodotti in sviluppo
- Ha notevole esperienza e conoscenza delle procedure regolatorie
- Specialisti con un alto livello di formazione e un gruppo di supporto scientifico collaborano con medici, operatori sanitari e associazioni di pazienti per migliorare la conoscenza e consapevolezza delle malattie rare
- Un sistema di distribuzione unico raggiunge i pazienti in tutta l'Unione Europea e in molti altri paesi del mondo direttamente dalla sede di Parigi

# CHI E' ORPHAN EUROPE

- Fondata nel 1990 da William Gunnarsson per rendere disponibili soluzioni terapeutiche ai pazienti affetti da “malattie rare”
- Una malattia è “rara” quando colpisce meno di 5 persone ogni 10.000. Sono malattie serie, croniche, invalidanti e spesso fatali. Le cause sono frequentemente genetiche.
- Orphan Europe offre 10 farmaci a pazienti in tutto il mondo
- Orphan Europe ha circa 120 dipendenti, filiali in nove paesi europei, negli Emirati Arabi Uniti e uffici di rappresentanza in altri sette paesi.
- Orphan Europe è impegnata nel migliorare il livello di conoscenza degli operatori sanitari riguardo le malattie rare.

# LA PRESENZA DI ORPHAN EUROPE



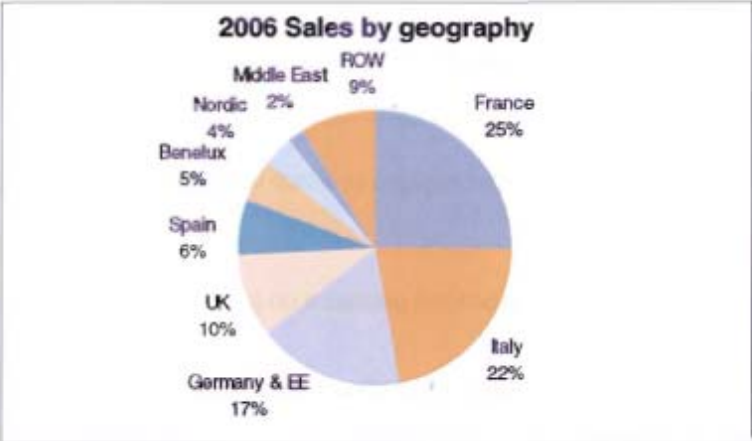
Belgio  
Francia  
Germania  
Italia  
Portogallo  
Spagna  
Svezia  
Svizzera  
Emirati Arabi Uniti  
Regno Unito

Austria  
Rep. Ceca  
Danimarca  
Finlandia  
Paesi Bassi  
Polonia  
Turchia



# DISTRIBUZIONE

*A unique Pan-European distribution network serving clients worldwide*



# I FARMACI DISPONIBILI



## Nome

Adagen<sup>®</sup>  
Carbaglu<sup>®</sup>  
Cyanokit<sup>®</sup>  
Cystadane<sup>®</sup>  
Cystagon<sup>®</sup>  
Normosang<sup>®</sup>  
Pedeia<sup>®</sup>  
Sucraid<sup>®</sup>  
Vedrop<sup>®</sup>  
Wilzin<sup>®</sup>

## Principio attivo

Pegademasi bovina  
Acido carginico  
Idrossicobalamina  
Betaina anidra  
Cisteamina bitartrato  
Emina umana  
Ibuprofene IV  
Sacrosidasi  
Tocofersolan  
Zinco acetato

## Indicazione

Deficienza di SCID-ADA  
Deficit di NAGS  
Avvelenamento da cianuro  
Omocistinuria  
Cistinosi nefropatica  
Porfiria acuta intermittente  
Dotto arterioso pervio  
Deficit di sucraasi isomaltasi  
Colestasi / Fibrosi cistica  
Malattia di Wilson

## INDICAZIONI DEI FARMACI

- **Adagen<sup>®</sup> (pegademasi bovina)** Terapia sostitutiva con enzima esogeno per il trattamento della immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeaminasi (SCID-ADA). Malattia rara da immunodeficienza congenita grave che si presenta nei bambini alla nascita. I bambini affetti hanno la funzione immunitaria compromessa e contraggono ripetutamente infezioni di vario tipo.
- **Normosang<sup>®</sup> (emina umana)** Trattamento di crisi acute di porfiria epatica. Le porfirie sono malattie ereditarie che provocano blocchi nella biosintesi dell'eme (necessaria per la produzione di emoglobina). I sintomi sono dolore intenso all'addome, nausea, vomito, costipazione. Esiste il pericolo di complicazioni neurologiche, come la paralisi.
- **Cystagon<sup>®</sup> (cisteamina bitartrato)** Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta. Disturbo congenito raro che colpisce il metabolismo della cistina. C'è un accumulo di cistina all'interno delle cellule che inibisce il loro corretto funzionamento. I primi organi principali colpiti sono reni e occhi e tra i sintomi c'è lo scarso aumento del peso e della statura.

## INDICAZIONI DEI FARMACI

- **Carbaglu® (acido carglumico)** Trattamento dell'iperammonemia dovuta alla deficienza di N-acetilglutammato sintasi (deficit di NAGS). Disturbo metabolico congenito che colpisce il ciclo dell'urea causando un accumulo eccessivo di ammoniaca nel sangue e nei tessuti. L'ammoniaca è tossica, in particolare per i tessuti cerebrali. I sintomi comprendono scarso appetito, vomito, respirazione anomala, arresto della crescita, letargia, ritardo nello sviluppo, convulsioni, coma.
- **Cystadane® (betaina anidra)** Trattamento dell'omocistinuria. Malattia genetica nella quale l'organismo non è in grado di metabolizzare completamente l'amminoacido metionina. Risulta un accumulo di omocisteina nel sangue e nell'urina. I sintomi comprendono: trombosi, fragilità ossea, anomalie dello scheletro, *ectopia lentis* e ritardo mentale.
- **Wilzin® (zinco acetato diidrato)** Trattamento del morbo di Wilson. Malattia genetica rara. I pazienti affetti sono privi di un enzima necessario per metabolizzare il rame e quindi accumulano una quantità eccessiva di questa sostanza, dapprima nel fegato e successivamente in altri organi. Causa malattie epatiche e danni al sistema nervoso.

## INDICAZIONI DEI FARMACI

- **Sucraid<sup>®</sup> (sacrosidasi)** Trattamento di deficit congenito di sucralasi-isomaltasi (DCSI). Malattia metabolica ereditaria caratterizzata da un assorbimento anomalo degli oligosaccaridi e dei disaccaridi. I sintomi comprendono la diarrea osmotica-fermentativa, i crampi addominali, la flatulenza e il vomito.
- **Vedrop<sup>®</sup> (tocofersolan)** Trattamento di carenza di vitamina E associata a colestasi cronica o fibrosi cistica. I pazienti affetti da colestasi cronica non assorbono le vitamine liposolubili (la vitamina E è una di queste). Anche i pazienti affetti da fibrosi cistica presentano malassorbimento di vitamine liposolubili. La carenza di vitamina E porta progressivamente ad una serie di patologie neurologiche gravi.

## INDICAZIONI DEI FARMACI

- **Pedea<sup>®</sup> (ibuprofene IV)** Trattamento del dotto arterioso pervio. Il dotto arterioso è un'arteria che nel feto porta sangue dall'arteria polmonare in aorta. Alla nascita, quando i polmoni iniziano a respirare, il dotto si chiude spontaneamente. In alcuni casi rimane aperto (dotto arterioso pervio) e ciò causa problemi cardiologici e polmonari nel neonato. L'ibuprofene agisce riducendo il livello di prostaglandine nelle cellule coinvolte nel mantenimento dell'apertura del dotto arterioso dopo la nascita.
- **Cyanokit<sup>®</sup> (idrossicobalamina)** Antidoto indicato nell'intossicazione da acido cianidrico.

## Research & Development

Product	Partner	Discovery	Pharmaceutical & pre-clinical	Clinical	Marketing Approval	Comments
<b>Carbaglu®</b>		NAGS Deficiency →				EU Registration 2003
<b>Pedea®</b>		Patent Ductus Arteriosus →				EU Registration 2004
<b>Vedrop®</b>		Vitamin E deficiency in Cystic Fibrosis and Chronic Cholestasis →				Pre-registration status
<b>PI-0824</b>	<b>Peptimmune</b>	Pemphigus Vulgaris →				Phase I completed
<b>Cystadrops®</b>		Ocular Cystinosis →				Phase I/II in preparation
<b>NCE</b>	<b>CNRS-INSERM</b>	CDG Ia →				Biological activity screening on-going