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.

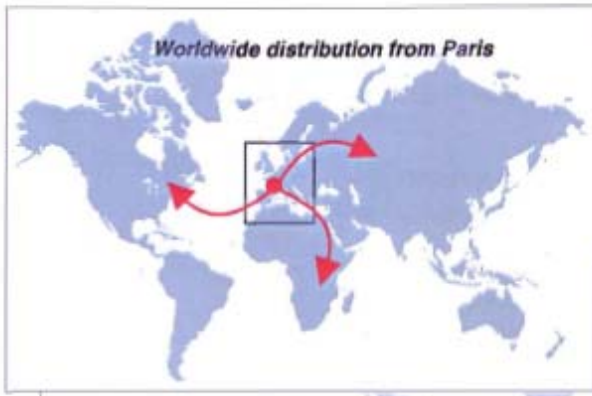
LA PRESENZA DI ORPHAN EUROPE

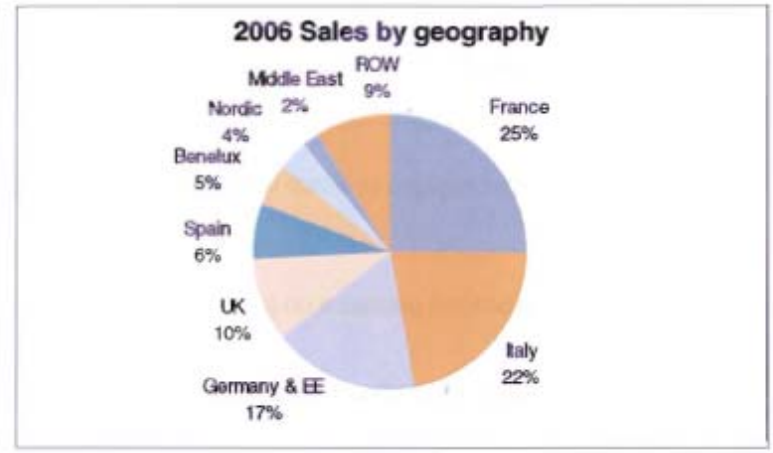
Belgio
Francia
Germania
Italia
Portogallo
Spagna
Svezia
Svizzera
Emirati Arabi Uniti
Regno Unito
Austria
Rep. Ceca
Danimarca
Finlandia
Paesi Bassi
Polonia
Turchia



DISTRIBUZIONE

A unique Pan-European distribution network serving clients worldwide







OE's subsidiary OE's representative office

RECORDATI

I FARMACI DISPONIBILI



Nome	Principio attivo	Indicazione
Adagen®	Pegademasi bovina	Deficienza di SCID-ADA
Carbaglu®	Acido carglumico	Deficit di NAGS
Cyanokit®	Idrossicobalamina	Avvelenamento da cianuro
Cystadane®	Betaina anidra	Omocistinuria
Cystagon®	Cisteamina bitartrato	Cistinosi nefropatica
Normosang®	Emina umana	Porfiria acuta intermittente
Pedea®	Ibuprofene IV	Dotto arterioso pervio
Sucraid®	Sacrosidasi	Deficit di sucrasi isomaltasi
Vedrop®	Tocofersolan	Colestasi / Fibrosi cistica
Wilzin®	Zinco acetato	Malattia di Wilson

INIDICAZIONI DEI FARMACI

- Adagen® (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® (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® (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.

INIDICAZIONI 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.

INIDICAZIONI DEI FARMACI

- Sucraid® (sacrosidasi) Trattamento di deficit congenito di sucrasi-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® (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.

INIDICAZIONI DEI FARMACI

- Pedea® (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® (idrossicobalamina) Antidoto indicato nell'intossicazione da acido cianidrico.

FARMACI IN SVILUPPO

