



# Studio I TRANSCEND

Vasculite associata ad anticorpi anti-citoplasma dei neutrofili (ANCA)

# Alexion è impegnata nello sviluppo di terapie per le malattie rare

**4**

Premi Prix Galien

**Oltre 25**

anni di leadership nel campo delle malattie rare

**Piu' di 8.500**

ore di volontariato da parte di oltre 1.700 dipendenti durante l'edizione 2019 del Global Day of Service

**50**

Paesi in cui i pazienti vengono assistiti

**5**

terapie approvate indicate per 7 malattie rare

**Oltre 3.000**

collegi qualificati in tutto il mondo

# Ogni giorno ci impegniamo per cambiare la vita delle persone

Le persone che convivono con malattie rare e gravi sono la nostra ispirazione.

La nostra missione è trasformare la vita delle persone colpite da malattie rare e gravi, innovando costantemente e creando valore concreto in tutto quello che facciamo.

Siamo convinti che solo grazie a una collaborazione radicale tra tutte le persone coinvolte nella comunità delle malattie rare sia possibile sviluppare terapie che cambiano la vita, costruire un sistema sanitario più equo e aumentare la consapevolezza a livello globale. Per questo motivo lavoriamo a stretto contatto con pazienti, associazioni a supporto dei pazienti e team di ricerca di fama mondiale per assicurarci di avere il massimo impatto possibile.



Fonte: <https://Alexion.com/about-us>

# Informazioni su Alexion

**Il nostro Impegno per un'innovazione che fa la differenza**

Fondata nel 1992, Alexion si dedica allo sviluppo di terapie che cambiano la vita dei pazienti affetti da malattie rare, gravi e potenzialmente letali.

**ALEXION**<sup>®</sup>  
AstraZeneca Rare Disease



# Informazioni sulla vasculite associata ad anticorpi anti-citoplasma dei neutrofili (ANCA)

- Il nostro corpo produce anticorpi speciali, chiamati ANCA, che attaccano i globuli bianchi noti come neutrofili.
- Questo attacco provoca gonfiore e danni ai piccoli vasi sanguigni nel corpo.
- Il danno può colpire diversi organi come i reni, i polmoni e la pelle.
- Le persone affette da questa malattia possono sentirsi stanche, sviluppare eruzioni cutanee o avere difficoltà respiratorie.
- Attualmente, i medici trattano questa malattia con farmaci che riducono l'attacco del sistema immunitario ai vasi sanguigni.

Le informazioni sono state riassunte dalle seguenti fonti:

- National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases (NIDDK)
- Panoramica della Mayo Clinic sulla vasculite
- National Organization for Rare Disorders (NORD)
- Articoli UpToDate sulla vasculite ANCA-associata
- Informazioni per i pazienti dell'American College of Rheumatology

# Razionale dello studio I TRANSCEND

- Attualmente, nonostante siano disponibili trattamenti per la vasculite ANCA-associata (AAV), la qualità della vita continua a essere ridotta e il rischio di mortalità è più elevato.
- Vi è una grande esigenza insoddisfatta nei pazienti con vasculite AAV di terapie che riducano la dipendenza dai trattamenti con alte dosi di steroidi e i relativi effetti collaterali.
- Lo studio I TRANSCEND contribuirà alla ricerca su un farmaco dello studio (tarperprumig), che potrebbe ridurre la risposta del sistema immunitario e migliorare la qualità della vita dei pazienti affetti da AAV.
- Lo studio I TRANSCEND è stato progettato sulla base del feedback di pazienti affetti da AAV di tutto il mondo.

# Panoramica dello studio (diapositiva 1 di 2)

La partecipazione allo studio I TRANSCEND può durare fino a circa **72 settimane** e comprende i seguenti periodi:

**Screening:** ha una durata di circa due settimane e include una visita. Il personale dello studio esaminerà la Sua anamnesi medica ed eseguirà esami per verificare se Lei è idoneo/a allo studio.

## Panoramica dello studio (continua – Diapositiva 2 di 2)

**Trattamento dello studio:** ha una durata di circa 52 settimane e comprende circa 40 visite. Durante questo periodo, Lei sarà assegnato/a casualmente a un gruppo dello studio per ricevere il farmaco dello studio o un placebo, che assomiglia al farmaco dello studio ma non contiene alcun principio attivo. La probabilità di ricevere il farmaco dello studio è di 2:1.

Le prime 26 settimane del periodo di trattamento dello studio comprendono 27 visite e le ultime 26 settimane includono 13 visite. A seconda delle normative vigenti nel Suo Paese, potrebbe esserci la possibilità di effettuare alcune visite direttamente a domicilio da parte di un infermiere dello studio o di un membro del team dello studio della clinica dello studio.

**Periodo di follow-up dello studio:** tre visite dello studio in clinica nell'arco di 18 settimane. La visita durante la settimana 70 è la visita finale di fine studio.

# Criteri di idoneità

Lo studio I TRANSCEND sta arruolando in circa 86 centri in 14 Paesi.

I/Le partecipanti idonei/e devono:

- avere un'età compresa tra i 18 e gli 80 anni;
- avere una diagnosi di vasculite ANCA-associata recente o recidivante, del sottotipo con granulomatosi con poliangioite (GPA) o poliangioite microscopica (MPA);
- avere una velocità di filtrazione glomerulare stimata (eGFR; funzionalità renale)  $\geq 15$  ml/min/1,73m<sup>2</sup>;
- essere disposti a farsi vaccinare contro *N meningitidis* (meningite meningococcica);
- accettare di ricevere un trattamento preventivo con antibiotici durante il trattamento con rituximab.

Le persone saranno valutate per determinare la loro idoneità a partecipare. Coloro che risultano idonei e decidono di partecipare riceveranno il farmaco dello studio (o il placebo) e si sottoporranno a esami medici e test di laboratorio specifici dello studio senza alcun costo.

# Il nostro impegno per la diversità negli studi clinici (CTD)

## Il nostro obiettivo

Integrare un approccio diversificato ed equo nella progettazione degli studi e del reclutamento per affrontare in modo più efficace le disuguaglianze sanitarie all'interno delle nostre comunità di pazienti a livello globale.

## Il nostro impegno

Per servire al meglio le popolazioni di pazienti affetti da malattie rare e generare evidenze che siano rappresentative della diversità delle nostre indicazioni target, abbiamo dato priorità al rafforzamento della diversità e dell'inclusione nei nostri studi clinici.

## Le nostre aspirazioni

1

Impegnati nel monitoraggio della diversità nel **100% degli studi clinici di fase 2 e 3**

2

Garantire una **rappresentazione del mondo reale** nei programmi clinici

## Il nostro approccio

- Ricercare soluzioni audaci basate sugli **studi su larga della popolazione, su una ricerca inclusiva e sul coinvolgimento delle comunità**
- Adottare un approccio di governance unico che **riunisce esperti di settore provenienti da diverse aree aziendali** per sviluppare soluzioni innovative

## Stiamo facendo progressi significativi

- Raggiungiamo le nostre aspirazioni attraverso un piano triennale strutturato **e operativo, basato su iniziative prioritarie**
- Lavoriamo per comprendere la nostra situazione attuale **attraverso un'analisi delle caratteristiche demografiche basali** presenti nei dati degli studi clinici
- **Promuoviamo una maggiore consapevolezza** e una comprensione condivisa dell'importanza della diversità negli studi clinici sia all'interno che all'esterno dell'organizzazione

**Per ulteriori informazioni, si prega di contattare :**

**[clinicaltrials@alexion.com](mailto:clinicaltrials@alexion.com)**

**Può anche ottenere maggiori informazioni su questo studio e  
sull'idoneità all'indirizzo**

**[ClinicalTrials.gov](https://ClinicalTrials.gov)**

A man wearing a hat and a light-colored shirt is rowing a small wooden boat through a complex, maze-like structure of thick, red, branching, root-like or coral-like formations. The background is a soft, blue and yellowish light, suggesting a sky or water surface. The overall style is painterly and evocative.

# Grazie

**ALEXION**<sup>®</sup>  
AstraZeneca Rare Disease