

Amsterdam Molecular Therapeutics B.V

25.01.2010 - 18:41 Uhr

Die EMA beginnt die formale Prüfung des Glybera(R)-Dossiers

Amsterdam (ots/PRNewswire) -

Amsterdam Molecular

Therapeutics, führend auf dem Gebiet der Humangentherapie, hat im offiziellen Verfahren zur Vermarktungsgenehmigung für sein Hauptprodukt Glybera(R), das aus der eigenen Entwicklung stammende Produkt gegen Lipoproteinlipase-Defizienz (LPLD), einen weiteren wichtigen Meilenstein erreicht. Die zuvor angekündigte Einreichung der Marketing Authorisation Application (MAA, Antrag auf Vermarktungsgenehmigung) für Glybera(R) hat die Validierungsphase der European Medicines Agency (EMA, früher EMEA) erreicht. Die EMA wird jetzt mit der formalen Prüfung von Glybera(R) beginnen.

AMT hat zwei klinische Studien über LPLD in Europa und in Kanada abgeschlossen. Für beide sowie für eine weitere dritte klinische Studie in Kanada laufen Langzeitfolgestudien. In diesen drei Studien hat Glybera(R) eine beträchtliche Verringerung des Auftretens von Pankreatitis oder akuter Pankreasentzündung gezeigt, dies ist die Komplikation von LPLD, die die stärkste Schwächung mit sich bringt. Weiterhin zeigen diese Studien, dass Glybera(R) ein hervorragendes Sicherheitsprofil besitzt.

"Die Annahme des Glybera(R)-Dossiers durch die EMA ist ein wichtiger Schritt in Richtung der Vermarktungsgenehmigung für Glybera(R). Weiterhin zeigt sie die Entwicklungsfähigkeit von AMT. Eine zukünftige Genehmigung der MAA für Glybera würde unseren Ansatz der Gentherapie und unsere Adeno-assoziierte virale (AAV) Vektorausgabepattform vollständig bestätigen. Wir glauben, dass dieser Schritt vielen Patienten Hoffnung geben wird, da die Gentherapie der Therapieansatz der Wahl für Erbkrankheiten werden könnte", so Jörn Aldag, Chief Executive Officer bei AMT.

Die formale Prüfung der EMA wird über das zentralisierte Verfahren durchgeführt, das den Standard für alle fortgeschrittenen Therapien darstellt. AMT erwartet entsprechend den Berichtsvorschriften weitere Informationen über die Ergebnisse der Folge- und der laufenden Studien für das Jahr 2010.

Über die Krankheit

LPLD ist eine stark schwächende und potentiell tödliche seltene Krankheit, für die es bislang keine Behandlung gibt. Die Krankheit wird durch Mutationen des LPL-Gens verursacht, die zu einer stark gesteigerten oder vollständig verhinderten Aktivität des LPL-Proteins bei den Patienten führen. Dieses Protein wird benötigt, um die grossen, Fett transportierenden Partikel aufzubrechen, die nach den Mahlzeiten im Blut zirkulieren. Wenn sich solche als Chylomikronen bezeichnete Partikel im Blut ansammeln, können sie kleine Blutgefässe verstopfen. Dies kann nicht nur zu Pankreatitis, sondern auch zu schwierig zu behandelnder Diabetes führen und wird mit signifikanter Morbidität und Mortalität in Verbindung gebracht.

Über Amsterdam Molecular Therapeutics

AMT, 1998 gegründet und in Amsterdam ansässig, ist führend bei der Entwicklung auf menschlichen Genen basierender Therapien. Durch

die Nutzung von AAV als Abgabemethode der Wahl für therapeutische Gene konnte das Unternehmen die wahrscheinlich erste stabile und skalierbare Produktionsplattform für AAV entwickeln und validieren. Diese sichere und effiziente eigene Plattform bietet einzigartige Herstellungsfunktionen, die auf eine grosse Anzahl seltener und durch ein fehlerhaftes Gen verursachter Krankheiten angewandt werden können. Zurzeit arbeitet AMT in unterschiedlichen Stadien an der Forschung und Entwicklung mehrerer AAV-basierter Medikamente zur Gentherapie von LPL-Defizienz, Hämophilie B, DMD, akuter intermittierender Porphyrie und Parkinson'scher Krankheit.

Zur Information

AMT hält am Dienstag, 9. Februar 2010, um 9.30 Uhr, bei der BioCEO & Investor Conference im Waldorf-Astoria, New York City, eine Präsentation ab.

Einige Aussagen in dieser Pressemitteilung sind "zukunftsweisende Aussagen", dazu gehören die Aussagen, die sich auf die Pläne und Erwartungen der Geschäftsführung für zukünftige Massnahmen, Aussichten und finanzielle Bedingungen beziehen. Worte wie z. B. "Strategie", "erwartet", "plant", "sieht voraus", "glaubt", "wird", "fährt fort", "schätzt", "beabsichtigt", "Projekte", "Ziele", "Zielvorstellungen" und andere Worte mit ähnlicher Bedeutung sollen solche zukunftsweisenden Aussagen kennzeichnen. Diese Aussagen basieren ausschliesslich auf den aktuellen Erwartungen der Geschäftsführung von Amsterdam Molecular Therapeutics. Man sollte diesen Aussagen keinen übertriebenen Wert beimessen, da sie aufgrund ihrer Art bekannten und unbekanntem Risiken unterliegen und von Faktoren beeinflusst werden können, die ausserhalb der Kontrolle von AMT liegen. Die tatsächlichen Ergebnisse können sich aufgrund einer Reihe von Faktoren und Unsicherheiten, die die Geschäftstätigkeit von AMT beeinflussen, einschliesslich, aber nicht begrenzt auf, den pünktlichen Beginn und den Erfolg der klinischen Versuche und der Forschungsanliegen von AMT, Verzögerungen bei der Erteilung der Genehmigung durch die Food and Drug Administration der USA oder anderer Genehmigungen (d. h. EMEA, Health Canada), die Marktakzeptanz der AMT-Produkte, den Erfolg der Marketing- und Vertriebsbemühungen von AMT, die Entwicklung konkurrierender Therapien und/oder Technologien, Bedingungen möglicher zukünftiger strategischer Partnerschaften, die Notwendigkeit zusätzlichen Kapitals, den Misserfolg beim Erhalten oder Erreichen der Bedingungen für erforderliche Genehmigungen und Einwilligungen von Regierung und Behörden, substantiell von den aktuellen Erwartungen entscheiden. AMT spricht sich ausdrücklich von der Absicht oder Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsweisenden Aussagen frei, sofern dies nicht gesetzlich erforderlich ist. Eine umfassendere Beschreibung der Risikofaktoren und der Unsicherheiten, die AMT beeinflussen, finden Sie im Prospekt zum ursprünglichen öffentlichen Angebot am 20. Juni 2007 und in den öffentlichen Ankündigungen von AMT, die von Zeit zu Zeit veröffentlicht werden.

Pressekontakt:

CONTACT: Bei Rückfragen: Jörn Aldag, Chief Executive Officer,
Tel+31(0)20-566-7394, j.aldag@amtbiopharma.com.