

02.02.2012 - 15:48 Uhr

## **Ergebnisse der internationalen Phase-I-Studie des rekombinanten Faktor-IX-Albuminfusionsproteins (rIX-FP) zeigen signifikante Verbesserung aller pharmakokinetischen Parameter bei Patienten mit schwerer Hämophilie B**

Schweiz (ots/PRNewswire) -

- Ergebnisse der im Rahmen des PROLONG-9FP-Studienprogramms durchgeführten Phase-I-Studie belegen klinische Sicherheit und lassen auf verbesserte pharmakokinetische Eigenschaften von rIX-FP im Vergleich zu gegenwärtig verfügbaren Therapieoptionen schliessen

CSL Behring [<http://www.cslbehring.com>] gab heute die Ergebnisse einer Phase-I-Studie des rekombinanten Faktor-IX-Albuminfusionsproteins (rIX-FP) bei Patienten mit schwerer Hämophilie B bekannt. Die mündliche Präsentation der Ergebnisse erfolgte im Rahmen eines Kongresses der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) in der Schweiz. Dabei wurde deutlich, dass rIX-FP für alle Patienten gut verträglich war und dass der Wirkstoff aufgrund seiner längeren Halbwertszeit im Vergleich zu aktuellen Faktor-IX-Therapieoptionen länger im Körper verbleibt.

CSL Behring entwickelt das Faktor-IX-Albuminfusionsprotein gemeinsam mit seiner Muttergesellschaft CSL Limited [<http://www.csl.com.au>] zur Prophylaxe und Therapie von Blutungsepisoden bei Patienten mit erblich bedingtem Faktor IX (FIX) - Mangel im Rahmen des klinischen PROLONG-9FP-Studienprogramms.

"Hämophilie B ist eine seltene, aber sehr schwerwiegende Gerinnungsstörung, die eine gewöhnliche Blutgerinnung verhindert und daher der häufigen Infusion von Faktor-IX-Konzentraten bedarf, um die Blutgerinnung zu normalisieren", so Dr. med. Elena Santagostino, Ph.D., Professorin der medizinischen Fakultät für klinische und experimentelle Hämatologie der Universität Mailand/Poliklinik IRCCS Maggiore. "Aus den Ergebnissen dieser Studie geht hervor, dass rIX-FP ein vielversprechender in der Prüfung befindlicher Wirkstoff zur Verbesserung der prophylaktischen und bedarfsgerechten Behandlung von Patienten mit Hämophilie B ist."

Im Rahmen der Analyse traten keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse (einschliesslich allergischer Reaktionen) auf. Ausserdem wurden keinerlei Inhibitoren gegen Faktor IX oder Antikörper gegen rIX-FP festgestellt. Die terminale Halbwertszeit (eine Kenngrösse dafür, wie lange ein Wirkstoff im Körper nachweisbar ist) war mehr als fünf Mal länger im Vergleich zu Werten der gegenwärtigen rekombinanten FIX-Therapie. Die inkrementelle Recovery, der Bereich unterhalb der Kurve (area under the curve, eine Kenngrösse für die Gesamtexposition gegenüber einem bestimmten Wirkstoff) und Clearance wiesen im Vergleich zu den Werten aus aktuellen rekombinanten FIX-Therapie ebenfalls wesentliche Verbesserungen auf.

"Mit der Entwicklung dieses neuen rekombinanten Prüfpräparats setzt CSL Behring seine langjährige Tradition innovative Therapien zur Verbesserung des Behandlungserfolgs für Menschen mit seltenen Blutungsstörungen anzubieten weiter fort", so Dr. Stefan Schulte, Vice President Forschung und Entwicklung, CSL Behring. "Wir freuen uns darauf, das Potenzial von rIX-FP für Patienten mit Hämophilie B noch genauer zu untersuchen."

CSL Behring und CSL Limited haben das rIX-FP Albuminfusionsprotein gezielt darauf ausgelegt, die Halbwertszeit von Faktor IX zu verlängern bei gleichzeitig sehr guter Verträglichkeit des Faktors. (und Schwierigkeiten hinsichtlich der Verträglichkeit zu minimieren.) Dazu wird rekombinantes Albumin - ein Trägerprotein, das sich durch eine lange Halbwertszeit in der Natur auszeichnet - als Fusionspartner genutzt. Ein speziell für diesen Zweck entwickeltes Verbindungsmolekül koppelt den rekombinanten Faktor IX an das rekombinante Albumin, um so die Wirksamkeit von rIX-FP zu erhöhen.

Informationen zur Phase-I-Studie

Die Phase-I-Studie ist Bestandteil des klinischen PROLONG-9FP-Programms und wurde in Form einer multizentrischen, internationalen Open-Label-Studie zur Prüfung von rIX-FP bei Patienten mit nachweislich schwerer Hämophilie B (FIX < oder = 2 %) durchgeführt. Das Primärziel war die Untersuchung der Sicherheit von rIX-FP bis zu 28 Tagen nach der intravenösen Injektion einer Dosis von 25, 50 oder 75 IU/kg. Das Sekundärziel bestand in der Untersuchung der pharmakokinetischen Eigenschaften von rIX-FP. Weitere Informationen zu der Studie sind auf <http://www.clinicaltrials.gov> verfügbar.

## Informationen zu Hämophilie

Hämophilie ist eine erbliche Gerinnungsstörung, die sich in Form spontaner oder verlängerter Blutungen bemerkbar macht, insbesondere in Muskeln und Gelenken. Sie tritt fast ausschliesslich bei Männern auf. Die Krankheit wird durch eine Störung bzw. einen Mangel an einem Gerinnungsprotein, dem sogenannten Faktor VIII oder IX, verursacht. Die häufigste Form der Krankheit ist als Hämophilie A oder klassische Hämophilie bekannt und äussert sich durch einen fehlerhaften oder fehlenden Gerinnungsfaktor VIII. Hämophilie B ist durch einen fehlerhaften oder nicht vorhandenen Faktor IX gekennzeichnet. Hämophilie A tritt in etwa 1 von 5.000 bis 10.000 Menschen auf. Hämophilie B tritt in etwa 1 von 25.000 bis 50.000 Menschen auf. Die empfohlene Behandlung von Patienten mit Faktormangel ist die Faktor-Ersatztherapie.

## Informationen zu CSL Behring

CSL Behring ist eines der weltweit führenden Unternehmen im Bereich der Plasmaprotein-Biotherapeutika. In seinem Bemühen, die Lebensqualität von Patienten zu verbessern, fertigt und vermarktet CSL Behring ein Angebot sicherer und wirksamer aus Plasma gewonnener und rekombinanter Produkte und damit verbundener Dienstleistungen. Die Therapeutika des Unternehmens werden eingesetzt zur Behandlung seltener Krankheiten wie Störungen des Immunsystems, Hämophilie, von Willebrand Syndrom und andere Gerinnungsstörungen sowie zur Behandlung von Patienten mit erblichem Emphysem. Weitere Produkte finden Anwendung bei der Prävention von hämolytischen Krankheiten bei Neugeborenen, in der Herzchirurgie, Organtransplantationen sowie in der Behandlung von Verbrennungen. Mit CSL Plasma betreibt CSL Behring eines der weltweit grössten Netzwerke für Plasmaspenden. CSL Behring ist eine Tochtergesellschaft der CSL Limited, einem Biopharmaunternehmen mit Sitz in Melbourne (Australien). Weitere Informationen erhalten Sie auf <http://www.cslbehring.com>.

### Pressekontakt:

Sheila A. Burke, Direktorin, Kommunikation & Öffentlichkeitsarbeit

Globaler Geschäftsbetrieb

CSL Behring

+1-610-878-4209 (Büro)

+1-484-919-2618 (Mobil)

Sheila.Burke@cslbehring.com

Etanjalie Ayala

Weber Shandwick

+1-212-445-8225

eayala@webershandwick.com

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100012938/100712414> abgerufen werden.