

# Merck Serono

Merck Serono startet mit KAMPER das erste gesamteuropäische Register für Kuvan-Patienten

10.12.2009 - 11:55 Uhr, Merck Serono

Genf (ots/PRNewswire) - Merck Serono, die Pharma-Sparte der Merck KGaA, Darmstadt, Deutschland, kündigte heute die Aufnahme des ersten Patienten in das KAMPER-Register (Kuvan Adult Maternal Pediatric European Registry) an. KAMPER ist das erste gesamteuropäische Register für Patienten, die an Hyperphenylalaninämie (HPA) aufgrund von Phenylketonurie (PKU) oder Tetrahydrobiopterin-(BH4)-Mangel leiden und mit Kuvan(R) (Sapropterindihydrochlorid) behandelt werden.

Für dieses Register sollen 625 Patienten über einen Zeitraum von bis zu 15 Jahren beobachtet werden, um die langfristigen Behandlungsergebnisse einer Therapie mit Kuvan(R) zu dokumentieren. Kuvan(R) erhielt im Dezember 2008 die Marktzulassung durch die Europäische Kommission unter dem Status eines "Orphan Drug", d.h. einem neuartigen Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen.

"Zweck des KAMPER-Registers ist das Sammeln zusätzlicher Informationen zum Nutzen und der langfristigen Sicherheit einer Therapie mit Kuvan. Darüber hinaus verfolgt Merck Serono das Ziel, die klinische Versorgung von Patienten mit PKU oder BH4-Mangel zu verbessern. Das KAMPER-Register ist Ausdruck unseres umfassenden Engagements in dieser Richtung", erklärte Dr. Bernhard Kirschbaum, Leiter der Forschung und Entwicklung von Merck Serono.

Das Patientenregister KAMPER wird als multizentrisches, auf Beobachtungen basierendes Register von spezialisierten Kliniken in 11 europäischen Ländern geführt. Zur Teilnahme berechtigt sind Patienten über vier Jahre, die an PKU leiden und mit Kuvan(R) behandelt werden sowie alle mit Kuvan(R) behandelten Patienten mit BH4-Mangel. Zudem wird ein Teil des Registers zur Erfassung werdender Mütter geführt, in dem zusätzliche Daten zu schwangeren Patientinnen erhoben werden, die mit Kuvan(R) behandelt werden. Die Patienten werden regelmässig entsprechend der jeweils vor Ort angewandten Verfahren untersucht. Im Verlauf der 15 Jahre, über die das Register geführt wird, werden Zwischenauswertungen der erhobenen Daten veröffentlicht.

## Hyperphenylalaninämie (HPA)

Störungen des Stoffwechsels von Phenylalanin (Phe) können zu abnorm erhöhten Phe-Konzentrationen im Blut führen, einem Zustand, der auch als Hyperphenylalaninämie (HPA) bezeichnet wird. Zwei angeborene Stoffwechselstörungen, Phenylketonurie (PKU) und Mangel an Tetrahydrobiopterin (BH4), sind in den meisten Fällen die Ursache von HPA.

## Phenylketonurie (PKU)

PKU, eine genetische Störung, von der etwa 50.000 Patienten in den Industrienationen betroffen sind, wird durch einen Mangel des Enzyms Phenylalanin-Hydroxylase (PAH) verursacht. PAH wird für den Stoffwechsel der essenziellen Aminosäure Phenylalanin (Phe) benötigt, die in allen Lebensmitteln vorkommt, die Proteine enthalten. Wenn das aktive Enzym nicht in ausreichender Menge vorhanden ist, steigt der Phe-Spiegel im Blut und im Gehirn auf abnorm hohe Werte. Dies führt zu einer Reihe von Komplikationen wie schwerer Entwicklungsverzögerung und Schädigungen des Gehirns, Geisteskrankheit, Krämpfen und Muskelzittern sowie Wahrnehmungsstörungen. Als Folge der weltweit durchgeführten Untersuchungen zur Früherkennung bei Neugeborenen seit den 1960er und frühen 1970er Jahren können praktisch alle Patienten direkt nach der Geburt diagnostiziert werden.

## Mangel an Tetrahydrobiopterin (BH4)

BH4-Mangel ist ein äusserst seltener angeborener Stoffwechselfehler, der als Ursache für 1 bis 2 Prozent aller HPA-Fälle angenommen wird. BH4-Mangel ist eine autosomal-rezessive genetisch bedingte Erkrankung und kann entstehen, wenn Mangel an einem der fünf verschiedenen an der Synthese und Regenerierung von BH4 beteiligten Enzyme besteht. BH4 ist notwendiger Kofaktor für PAH. Aus diesem Grund beeinträchtigt ein Mangel an BH4 die PAH-Aktivität. Dies führt zu einer biochemischen Situation ähnlich derjenigen bei PKU, wobei HPA aus der mangelhaften Umwandlung von Phe zu Tyrosin resultiert. Da BH4 ein notwendiger Kofaktor sowohl für die Tyrosin-Hydroxylase als auch für die Tryptophan-Hydroxylase ist, verursacht der BH4-Mangel ausserdem einen Mangel an den nachgeordneten Neurotransmitter-Produkten der Aminosäuren Tyrosin und Tryptophan, darunter Katecholamine und Serotonin. Eine Diät zur Begrenzung der Aufnahme von Proteinen oder von Phe mit der Nahrung ist bei Behandlung mit BH4 oft nicht erforderlich. Da BH4 jedoch die Blut-Hirn-Schranke nicht überschreitet, kann eine gleichzeitige Therapie mit Neurotransmitter-Vorläufern, d.h. Levodopa und 5-Hydroxytryptophan, notwendig sein um die Substratkonzentrationen für die Katecholamin- bzw. Serotonin-Synthese im Zentralnervensystem zu erhöhen.

Kuvan(R)

Kuvan ist ein von Merck Serono und BioMarin Pharmaceutical Inc. (Nasdaq and SWX: BMRN), gemeinsam entwickeltes orales Therapeutikum und das europaweit erste Medikament mit der Zulassung für die Behandlung der Hyperphenylalaninämie (HPA) aufgrund von Phenylketonurie (PKU) bei Patienten über vier Jahren sowie für die Behandlung der Hyperphenylalaninämie aufgrund von Mangel an Tetrahydrobiopterin (BH4). Kuvan ist die synthetische Form von 6R-BH4, einem natürlich vorkommenden Enzym-Kofaktor, der zusammen mit dem Enzym Phenylalanin-Hydroxylase (PAH) am Stoffwechsel von Phenylalanin (Phe) beteiligt ist. Klinische Daten legen nahe, dass Kuvan bei der Untergruppe von Patienten, die auf BH4 ansprechen, die Phe-Werte im Blut signifikant verringert.

Zu den am häufigsten im Zusammenhang mit der Anwendung von Kuvan berichteten Nebenwirkungen gehören Kopfschmerzen, laufende Nase, Durchfall, Erbrechen, Halsschmerzen, Husten, Bauchschmerzen, verstopfte Nase und niedrige Phenylalaninwerte im Blut.

Kuvan ist in 32 Ländern zugelassen, darunter Mitgliedsstaaten der Europäischen Union sowie die USA. Gemäss den vertraglichen Vereinbarungen mit BioMarin hält Merck Serono die weltweiten Exklusivrechte zur Vermarktung von Kuvan ausserhalb der USA, Kanadas und Japans.

Merck Serono

Merck Serono ist die Sparte für innovative verschreibungspflichtige Medikamente von Merck, einem weltweit tätigen Pharma- und Chemieunternehmen. Merck Serono mit Hauptsitz in Genf, Schweiz, entdeckt, entwickelt, produziert und vermarktet innovative kleine Moleküle und Biopharmazeutika, um Patienten mit ungedecktem medizinischem Bedarf zu helfen. In den Vereinigten Staaten und Kanada handelt EMD Serono durch rechtlich selbstständige Tochtergesellschaften.

Merck Serono verfügt über führende Marken, die Patienten bei Krebs (Erbix(R), Cetuximab), Multipler Sklerose (Rebif(R), Interferon beta-1a), Unfruchtbarkeit (Gonal-f(R), Follitropin alfa), endokrinen und metabolischen Erkrankungen (Saizen(R) und Serostim(R), Somatropin; Kuvan(R), Sapropterindihydrochlorid) sowie Herz-Kreislauf-Erkrankungen (Glucophage(R), Metformin; Concor(R), Bisoprolol; Euthyrox(R), Levothyroxin) zugute kommen. Nicht alle Produkte sind in allen Märkten erhältlich.

Mit jährlichen F&E-Investitionen in Höhe von rund 1 Milliarde EUR engagieren wir uns für den Ausbau unseres Geschäfts in Therapiegebieten mit hohem Spezialisierungsgrad wie neurodegenerativen Erkrankungen, Onkologie, Fruchtbarkeit und Endokrinologie, aber auch in neuen Therapiegebieten, die sich potenziell aus unserer Forschung und Entwicklung im Bereich der Autoimmun- und Entzündungserkrankungen ergeben können.

Merck

Merck ist ein weltweit tätiges Pharma- und Chemieunternehmen mit Gesamterlösen von 7,6 Mrd. EUR im Jahr 2008, einer Geschichte, die

1668 begann, und einer Zukunft, die annähernd 33.000 Mitarbeiter in 60 Ländern gestalten. Innovationen unternehmerisch denkender und handelnder Mitarbeiter charakterisieren den Erfolg. Merck bündelt die operativen Tätigkeiten unter dem Dach der Merck KGaA, an der die Familie Merck mittelbar zu rund 70 Prozent und freie Aktionäre zu rund 30 Prozent beteiligt sind. Die einstige US-Tochtergesellschaft Merck & Co. ist seit 1917 ein von der Merck-Gruppe vollständig unabhängiges Unternehmen.

Weitere Informationen finden Sie unter  
<http://www.merckserono.com> oder <http://www.merck.de>

ots Originaltext: Merck Serono GmbH  
Im Internet recherchierbar: <http://www.presseportal.ch>

Pressekontakt:  
Merck Serono, 9 Chemin des Mines, 1202 Geneva, Switzerland, Media  
Relations: +41-22-414-3600

Originaltext:	Merck Serono
Dossier de presse:	<a href="http://www.presseportal.ch/fr/pm/100007499/merck-serono">http://www.presseportal.ch/fr/pm/100007499/merck-serono</a>
Dossier de presse par RSS:	<a href="http://presseportal.de/rss/pm_100007499.rss2">http://presseportal.de/rss/pm_100007499.rss2</a>