

23.12.2014 – 08:33 Uhr

CSL Behring reicht bei der FDA BLA-Zulassungsantrag für rekombinantes Fusionsprotein aus Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin (rIX-FP) ein - Anwendungsgebiet: Hämophilie B

- Erreichung eines wichtigen Meilensteins in PROLONG-9FP, dem Entwicklungsprogramm des Unternehmens für rekombinantes Faktor-IX-Fusionsprotein

King Of Prussia, Pennsylvania (ots/PRNewswire) - CSL Behring [<http://www.cslbehring.com/>] hat bei der US-amerikanischen Aufsichtsbehörde FDA (Food and Drug Administration) einen Zulassungsantrag für biologische Wirkstoffe (BLA; Biologics License Application) für ein langwirksames Fusionsprotein gestellt, das aus rekombinatem Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin zusammengesetzt ist (rIX-FP). Wenn die FDA die Zulassung erteilt, werden Betroffene mit Hämophilie B und ihre Ärzte mit rIX-FP (Gerinnungsfaktor IX {rekombinant}, Albumin-Fusionsprotein) eine neue langwirksame Therapieoption mit Dosierungsintervallen von bis zu 14 Tagen zu ihrer Verfügung haben.

Logo - <http://photos.prnewswire.com/prnh/20100914/PH63692LOGO>
[<http://photos.prnewswire.com/prnh/20100914/PH63692LOGO>]

"Wie bei unserem letzten R&D Investoren Briefing erwähnt, ist die Einreichung des BLA für rIX-FP bei der FDA ein großer Meilenstein für das rekombinante Gerinnungsfaktor-IX-Entwicklungsprogramm von CSL Behring; wir sind damit unserem Ziel, den Menschen in den USA diese innovative Therapie anbieten zu können, wieder einen Schritt näher gekommen", sagte Dr. Andrew Cuthbertson, Chief Scientific Officer und R&D Director, CSL Limited. "Unsere enge Partnerschaft mit der Hämophilie-Community und ihr großer Einsatz waren unser Ausgangspunkt für die Entwicklung von rIX-FP mit dem neuartigen rekombinanten Albumin-Fusionsverfahren. Dieser Ansatz hat einen langwirksamen Wirkstoffkandidaten hervorgebracht, mit dem wir unsere Erfolgsgeschichte fortschreiben und einen weiteren Beitrag zum Wohlergehen von Menschen mit Gerinnungsstörungen und anderen seltenen Erkrankungen leisten werden."

Über das klinische Entwicklungsprogramm PROLONG-9FP Der BLA-Zulassungsantrag von CSL Behring stützt sich auf die Phase II/III der Prolong-9FP-Studie (Patienten im Alter von 12 bis 61 Jahren). Diese Zulassungsstudie der Phase II/III ist eine unverblindete, multizentrische Studie zur Sicherheit, Pharmakokinetik (PK) und Wirksamkeit von rIX-FP bei vorbehandelten Patienten mit schwerer Hämophilie B (FIX $\leq$ 2 %).

Die Studie war darauf ausgelegt, Unterschiede in der Häufigkeit spontaner Blutungsereignisse zwischen Behandlung nach Bedarf (on demand) und einem wöchentlichen prophylaktischen Behandlungsschema bei Patienten zu vergleichen, die zuvor ausschließlich nach Bedarf behandelt worden waren; ein weiterer primärer Endpunkt war die Anzahl der Patienten, die Inhibitoren gegen Faktor IX entwickeln. Außerdem wurden in der Studie unterschiedliche Prophylaxeschemata verglichen, darunter 7- und 14-tägige Intervalle. In einer Substudie wurde auch die Prävention und Kontrolle von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B, die sich einer Operation unterziehen, untersucht.

Weitere Einzelheiten zum Aufbau der Studie zu rIX-FP (CSL654) finden Sie hier: www.clinicaltrials.gov [<https://clinicaltrials.gov/>].

Über rIX-FP CSL Behring hat rIX-FP mit dem Ziel konzipiert, die Halbwertszeit von rekombinatem Faktor IX durch genetische Fusion mit rekombinatem Albumin zu verlängern. Rekombinantes Albumin wurde von CSL Behring aufgrund seiner langen physiologischen Halbwertszeit als rekombinanter genetischer Fusionspartner für das Gerinnungsfaktorprotein ausgewählt. Darüber hinaus besitzt rekombinantes Albumin nachweislich ein gutes Verträglichkeitsprofil, ein geringes Potenzial für immunogene Reaktionen sowie einen gut erforschten Clearance-Mechanismus. Der spaltbare Linker, mit dem der rekombinante Faktor IX und das rekombinante Albumin verknüpft sind, ist speziell darauf ausgelegt, die ursprüngliche Funktion des Gerinnungsfaktors im Fusionsprotein aufrechtzuerhalten und zugleich von der langen physiologischen Halbwertszeit des rekombinanten Albumins zu profitieren.

2012 [<http://www.cslbehring.com/news-room/CSL-Behring-Receives-FDA-Orphan-Drug-Designation-for-rIX-FP-a-Novel-Therapy-in-Development-to-Treat-Congenital-Factor-IX-Deficiency-HemophiliaB>] vergab die FDA die Orphan Drug Designation (Einstufung als Arzneimittel für seltene Krankheiten) an rIX-FP zur Therapie und Prophylaxe von Blutungsepisoden bei Patienten mit Hämophilie B. Hiervon abgedeckt sind die routinemäßige Prophylaxe, Kontrolle und Prävention von Blutungsepisoden sowie die Prävention und Beherrschung von Blutungen im perioperativen Setting. Im Rahmen ihres Orphan Drug Designation-Programms [<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/HowtoapplyforOrphanProductDesignation/default.htm>] vergibt die FDA den Status als Arzneimittel für seltene Krankheiten an einzigartige Wirkstoffe und Biologika, die zur sicheren und wirksamen Behandlung oder Prävention von seltenen Krankheiten bestimmt sind, von denen weniger als 200.000 Menschen in den USA betroffen sind.

Über Hämophilie B Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ist durch einen Mangel oder einen Defekt des Gerinnungsfaktors IX gekennzeichnet und tritt bei etwa 1 von 25.000 bis 50.000 Menschen auf. Hämophilie B ist eine erbliche Gerinnungsstörung, die sich in Form anhaltender oder spontaner Blutungen insbesondere in Muskeln, Gelenken und inneren Organen manifestiert. Sie tritt nahezu ausschließlich bei Männern auf.

Über CSL Behring CSL Behring ist führend im Bereich der Plasmaprotein-Biotherapeutika. Das Unternehmen produziert und vermarktet weltweit zahlreiche plasmabasierte und rekombinante Therapeutika.

Die Therapeutika von CSL Behring werden weltweit zur Behandlung von Gerinnungsstörungen, darunter Hämophilie und von-Willebrand-Erkrankung, sowie von primären Immundefizienzen, hereditärem Angioödem, erblichen Atemwegserkrankungen und in einigen Märkten auch zur Behandlung von neurologischen Erkrankungen eingesetzt. Die Produkte des Unternehmens werden auch bei Herzoperationen, Organtransplantationen, Verbrennungen und zur Vorbeugung von hämolytischen Krankheiten bei Neugeborenen verwendet.

CSL Behring betreibt mit CSL Plasma eine der weltweit größten Plattformen zur Gewinnung von Plasma. CSL Behring ist ein globales Biopharma-Unternehmen und eine Tochtergesellschaft der CSL Unternehmensgruppe. Die Muttergesellschaft CSL Limited [<http://www.csl.com.au/>] hat ihren Hauptsitz in Melbourne, Australien. Weitere Informationen finden Sie unter <http://www.cslbehring.com/> [<http://www.cslbehring.com/>].

Kontakt: Greg Healy CSL Behring Büro: +1-610-878-4841 Mobil: +1-610-906-4564
Greg.Healy@cslbehring.com[mailto:Greg.Healy@cslbehring.com]

Web site: <http://www.cslbehring.com/>

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100012938/100766539> abgerufen werden.