

16.12.2021 – 21:20 Uhr

EMA gewährt beschleunigte Beurteilung der Hämophilie-B-Gentherapie von CSL Behring

Marburg, Deutschland (ots/PRNewswire) -

[CSL Behring](#) hat heute bekannt gegeben, dass die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) einen Antrag auf beschleunigte Beurteilung des Zulassungsantrags (MAA) für Etranacogene dezaparvovec genehmigt hat. Etranacogene dezaparvovec ist eine experimentelle Gentherapie für Menschen mit Hämophilie B, einer lebensbedrohlichen Blutungsstörung, und wird derzeit in der klinischen Phase-III-Studie HOPE-B untersucht.

Die EMA gewährt dann eine beschleunigte Beurteilung, wenn ein Arzneimittel voraussichtlich von großem Interesse für die öffentliche Gesundheit ist und eine therapeutische Innovation darstellt. Dies verkürzt möglicherweise den Zeitrahmen für die Beurteilung, sobald der Zulassungsantrag eingereicht und angenommen wurde, und könnte für die Patienten so einen schnelleren Zugang zu dieser Gentherapie bedeuten.

Etranacogene dezaparvovec hat bereits den Status „Breakthrough Therapy“ von der US-amerikanischen Food and Drug Administration und wurde von der EMA in das Priority Medicine (PRIME)-Programm für ungedeckten medizinischen Bedarf aufgenommen. CSL Behring plant, Zulassungsanträge für die Zulassung von Etranacogene dezaparvovec in der Europäischen Union und den Vereinigten Staaten in der ersten Hälfte des Jahres 2022 einzureichen.

CSL Behring hat kürzlich positive Ergebnisse der HOPE-B-Zulassungsstudie mit Etranacogene dezaparvovec bekannt gegeben. Die Studie erreichte ihren primären Endpunkt der Nichtunterlegenheit bei einer annualisierten Blutungsrate nach stabiler Faktor-IX-Aktivität (FIX), die nach 18 Monaten nach einer Einzeldosis bewertet wurde. Sie erreichte auch einen sekundären Endpunkt, der die statistische Überlegenheit bei der Reduzierung der annualisierten Blutungsrate im Vergleich zur Basistherapie mit FIX gezeigt hat. Faktor IX ist ein natürlich vorkommendes Protein, das im Körper produziert wird und zur Blutgerinnung beiträgt.

Die Studie zeigte weiterhin, dass Etranacogene dezaparvovec im Allgemeinen gut vertragen wurde. Über 80 % der Nebenwirkungen bei den 53 Patienten, die an der 18-monatigen Nachbeobachtung beteiligt waren, wurden als mild eingestuft.

„Diese ermutigenden Ergebnisse machen deutlich, dass die Gentherapie eine langfristige Behandlungsoption für Patienten mit Hämophilie B sein muss, und wir freuen uns darauf, der medizinischen Fachwelt in naher Zukunft detailliertere Daten zur Verfügung zu stellen“, erklärte Lutz Bonacker, Senior Vice President und Geschäftsführer für Europa bei CSL Behring. „Dieser Meilenstein fördert unsere Bemühungen um die erwarteten Zulassungsanträge im ersten Halbjahr 2022.“

„Die Annahme einer beschleunigten behördlichen Beurteilung unterstreicht den hohen ungedeckten Bedarf an einer langfristigen Behandlungsoption für Patienten mit Hämophilie B“, betonte Karen Pinachyan, Head of Medical Affairs Europe bei CSL Behring. Er fügte hinzu: „Bei Patienten mit Hämophilie B hat die Gentherapie das Potenzial, eine nahezu normale Blutgerinnungsfähigkeit zu ermöglichen, was das Leben von Patienten, die anfällig für spontane Blutungen in ihren Muskeln, inneren Organen und Gelenken sind, grundlegend ändern könnte.“

„Ein konstanter Spiegel des Gerinnungsfaktors IX, der nach sechs Monaten, 12 Monaten und jetzt bei der Abschlussanalyse der HOPE-B-Zulassungsstudie nach 18 Monaten gemessen wird, ist die Grundlage für zukünftige Zulassungen und die Einführung in die klinische Praxis“, kommentierte Prof. Wolfgang Miesbach vom Universitätsklinikum Frankfurt und Prüfarzt der HOPE-B-Studie. Weiter erklärte er: „Es wäre wichtig, dass alle Beteiligten zusammenarbeiten, damit die Patienten Zugang zu diesen innovativen Methoden erhalten.“

Informationen zu Hämophilie B

Hämophilie B ist eine lebensbedrohliche degenerative Erkrankung. Menschen mit dieser Erkrankung sind besonders anfällig für Blutungen in ihren Muskeln, inneren Organen und Gelenken, was zu Schmerzen, Schwellungen und Gelenkschäden führt. Die derzeitige Behandlung besteht in lebenslangen prophylaktischen FIX-Infusionen, um niedrige Werte des Blutgerinnungsfaktors vorübergehend zu ersetzen oder zu ergänzen. Dies kann Gelenkblutungen reduzieren, lebensbedrohliche Blutungen verhindern und die Gelenkfunktion erhalten. Die Infusionen können jedoch umständlich und schmerzhaft sein und die Venen können mit der Zeit fibrosieren, was die laufende Behandlung erschwert. Außerdem kann das Immunsystem auch Inhibitoren gegen den Ersatzfaktor erzeugen, was seinen Nutzen zunichte macht. Darüber hinaus sind viele Menschen, die Prophylaxe erhalten, gezwungen, ihr Leben um die Höhen und Tiefen ihrer FIX-Werte herum zu planen, die unmittelbar nach einer Infusion ansteigen, aber im Laufe der Zeit sinken – was sie besonders anfällig für Blutungen und Schmerzen in den Tagen vor ihrer nächsten Infusion macht. Hinzu kommt, dass die prophylaktische FIX-Ersatztherapie manchmal nicht beobachtbare Mikroblutungen in den Gelenken nicht kontrollieren kann, so dass die Degeneration trotz regelmäßiger Infusionen fortschreitet. Das Fehlen einer Infusion kann auch die Wahrscheinlichkeit einer lebensbedrohlichen Blutung oder sogar des vorzeitigen Todes erhöhen.

Informationen zur Gentherapie bei Hämophilie B

Gentherapie hat das Potenzial, eine funktionelle Heilung bei Hämophilie B zu ermöglichen. Dies wird über modifizierte, nicht

infektiöse Viren, so genannte „Vektoren“ erzielt, die in bestimmte Zellen eindringen können. Die Vektoren fungieren als Lieferwagen, die ein Paket mit genetischen Anweisungen zu bestimmten Zellen befördern. Nach der Lieferung wirkt das Paket wie ein Generator, der an die Zellmaschinerie angeschlossen wird und ermöglicht es dem Patienten, seine eigenen stabilen FIX-Spiegel zu produzieren. Eine bestimmte Art von Vektor, genannt ein Adeno-assoziiertes Virus, oder AAV, löst sich nach der Lieferung seines Pakets auf. Die genetischen Anweisungen bleiben, werden aber nicht Teil der DNA einer Person.

Informationen zu Etranacogene Dezaparvovec

Etranacogene dezaparvovec (auch bekannt als CSL222 und EtranaDez, zuvor als AMT-061 bekannt) verwendet einen bestimmten AAV-Typ namens AAV5 als Träger. Der AAV5-Vektor trägt die patentgeschützte Padua-Genvariante von Faktor IX (FIX-Padua), die FIX-Proteine erzeugt, die fünf bis acht Mal aktiver sind als normal. Präklinische und klinische Daten zeigen, dass AAV5-basierte Gentherapien bei bis zu 95 Prozent der Hämophilie-B-Patienten mit bereits vorhandenen Antikörpern gegen AAV-Vektoren klinisch wirksam sein können. Dadurch erhöht sich die Behandlungseignung der Patienten im Vergleich zu anderen AAV-Gentherapie-Produktkandidaten potenziell.

Informationen zu CSL Behring

CSL Behring ist ein weltweit führendes Unternehmen im Bereich Biotherapeutika, das sich seinem Versprechen, Leben zu retten, verpflichtet hat. Unser Ziel ist es, den Bedürfnissen der Patienten durch den Einsatz neuester Technologien gerecht zu werden, und wir erforschen, entwickeln und liefern innovative Therapien für Patienten in den Bereichen Immunologie, Hämatologie, Herz-Kreislauf- und Stoffwechselmedizin, Atemwegs- und Transplantationstherapie. Wir nutzen drei strategische wissenschaftliche Plattformen der Plasmafraktionierung, der rekombinanten Proteintechnologie sowie der Zell- und Gentherapie, um kontinuierliche Innovationen zu unterstützen und kontinuierlich die Methoden zu verbessern, mit denen Produkte bisher ungedeckte medizinische Bedürfnisse decken und den Patienten zu einem erfüllten Leben verhelfen können.

CSL Behring betreibt mit CSL Plasma eines der weltweit größten Netzwerke zur Plasmagewinnung. Das Mutterhaus, CSL Limited (ASX:CSL;USOTC:CSLLY), hat seinen Hauptsitz in Melbourne, Australien, beschäftigt über 25.000 Mitarbeitende und liefert lebensrettende Therapeutika an Menschen in über 100 Länder. Für inspirierende Geschichten zum Versprechen der Biotechnologie besuchen Sie bitte [Vita CSLBehring.com/vita](http://vita.CSLBehring.com/vita) und folgen uns auf [Twitter.com/CSLBehring](https://twitter.com/CSLBehring).

Faraz Kermani Faraz.Kermani@CSLBehring.com

Pressekontakt:

Faraz.Kermani@CSLBehring.com Mobil: +49 (171) 9439569

Logo - https://mma.prnewswire.com/media/1608273/CSL_Behring_Logo.jpg

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100012938/100883046> abgerufen werden.