

19. Juli 2018

---

## EU-Zulassung von Inotersen zur Behandlung der Hereditären Transthyretin-Amyloidose

Tegsedi<sup>TM</sup> (Inotersen) ist ab sofort für die Behandlung von Polyneuropathie im Stadium 1 und 2 bei erwachsenen Patienten mit hereditärer Transthyretin-Amyloidose zugelassen. Der Zulassung durch die Europäische Kommission, die die Akcea Therapeutics, Inc. (NASDAQ: AKCA) und ihre Muttergesellschaft Ionis Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: IONS) heute bekannt gaben, ging die positive Stellungnahme des „Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)“ der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) voraus.

Hier finden Sie die Entscheidung der Europäischen Kommission.

„Mit dieser Zulassung ist Tegsedi weltweit die erste und einzige, auf die RNA zielende Therapie für Patienten mit hATTR-Amyloidose, die einfach subkutan appliziert wird. Wie die Ergebnisse der NEURO-TTR Studie zeigen, resultiert die Applikation von Tegsedi für die Patienten, die von dieser schwerwiegenden und lebensbedrohlichen Erkrankung betroffen sind, in einem signifikanten Nutzen bzgl. der Neuropathie und der Lebensqualität. Wir sind überzeugt, dass Tegsedi den Betroffenen und ihren Familien ein großes Stück Unabhängigkeit zurückgeben kann, indem wir ihnen die Therapie im häuslichen Umfeld ermöglichen“ so Paula Soteropoulos, CEO von Akcea Therapeutics. „Für Akcea ist diese erste Zulassung eines unserer Medikamente ein Meilenstein. Wir haben dies zusammen mit vielen Patienten mit hATTR-Amyloidose in Europa und in der ganzen Welt geschafft.“

Aufgrund der Bildung und Aggregation des veränderten Serumproteins Transthyretin (TTR) kommt es bei der hATTR-Amyloidose zu Ablagerungen in verschiedenen Bereichen des Körpers. Die NEURO-TTR-Studie zeigte einen erheblichen Rückgang der TTR-Werte unter der Therapie mit Tegsedi, unabhängig von der Form der Mutation oder vom Stadium der Krankheit.

„Die hATTR-Amyloidose ist eine fortschreitende, lebensbedrohliche Erbkrankheit mit bislang begrenzten Therapieoptionen“, sagt Dr. med Teresa Coelho, Neurologin und Neurophysiologin am Santo António Krankenhaus in Porto, Portugal. „Mit der Zulassung von Tegsedi beginnt eine neue Ära mit einem wirkungsvollen Arzneimittel, das Patienten stärkere Unabhängigkeit ermöglicht. Die Therapie mit Tegsedi führt zu einer raschen und anhaltenden Stabilisierung des Krankheitsverlaufes sowie auch der Lebensqualität der Patienten.“

Die Zulassung erfolgte auf Grundlage der Phase-III-Studie NEURO-TTR, die mit Patienten mit hATTR-Amyloidose und Symptomen einer Polyneuropathie durchgeführt wurde. Sie zeigte signifikante Vorteile für beide primären Endpunkte gegenüber Placebo, und zwar sowohl beim Norfolk QoL-DN (Norfolk Quality of Life Questionnaire-Diabetic Neuropathy) als auch beim mNIS+7 (modified Neuropathy Impairment Score +7), einem Maßstab für den neuropathischen Krankheitsverlauf. Tegsedi ist mit einem Risiko für Thrombozytopenie und Glomerulonephritis assoziiert, doch ein gezieltes Monitoring unterstützt die Früherkennung und das Management dieser Risiken.

„Wir sind glücklich, dass unsere erfolgreiche Forschung und Entwicklung zur Zulassung eines bedeutenden neuen Medikaments für Patienten mit hATTR-Amyloidose geführt hat“, so Dr. Brett P. Monia, COO bei Ionis Pharmaceuticals. „Unser Ziel war es, mithilfe unserer Antisense-Technologie einen Therapieansatz zu entwickeln, der die Bildung des TTR-Proteins blockiert, das für die Erkrankung verantwortlich ist. Die Zulassung festigt Ionis' Stellung als Unternehmen mit einem breiten Produktportfolio. Wir sind zuversichtlich, dass das erfahrene Team von Akc die Hoffnungen erfüllen wird, die wir in Tegsedi setzen, und danken allen Medizinern und Patienten, die an der klinischen Studie teilgenommen und diese wegweisende Zulassung möglich gemacht haben.“

Quelle: Akcea Therapeutics Germany GmbH