

US-amerikanische Zulassungsbehörde FDA gewährt Status des Therapiedurchbruchs für Roche-Prüfmedikament ACE910 bei Hämophilie A mit Faktor-VIII-Hemmstoffen

•

Prüfung des neuen Faktor-VIII-spezifischen bispezifischen Antikörpers zur prophylaktischen Behandlung von Hämophilie A

•

Status des Therapiedurchbruchs (Breakthrough Therapy Designation) für neues Roche-Medikament

Basel (1. September 2015) - Heute gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Zulassungsbehörde FDA (Food and Drug Administration) für das Roche-Prüfmedikament ACE910 (MOR10, MOR102) den Status des Therapiedurchbruchs (Breakthrough Therapy Designation) zur prophylaktischen Behandlung von empfindlichen oder älteren Patienten mit Hämophilie A und Faktor-VIII-Hemmstoffen gewährt hat. Hämophilie A ist eine seltene genetische Störung, bei der ein wichtiger Blutgerinnungsprotein, der Gerinnungsfaktor VIII, entweder nicht in ausreichender Menge gebildet wird oder defekt ist. 7 Patienten mit einer schweren Hämophilie A zeigen unter Umständen zu nicht oder schwer beherrschbaren Blutungen, einschließlich innerer Blutungen, vor allem Gelenkblutungen, die einen Gelenkverfall verursachen können.

Der Status des Therapiedurchbruchs (Breakthrough Therapy Designation) soll die Entwicklung und Prüfung von Medikamenten, die für die Behandlung von schwerwiegenden Erkrankungen vorgesehen sind, beschleunigen. Die Voraussetzung dafür sind frühe klinische Daten, die belegen, dass das Medikament eine wesentliche Verbesserung gegenüber den verfügbaren Behandlungsoptionen darstellen kann.

In einer Phase-I-Studie zeigt ACE910 vielversprechende Resultate als prophylaktische Behandlung in Form eines einmal wöchentlichen subkutanen Injektions bei Patienten mit schwerer Hämophilie A. Es wurden auch Patienten, bei denen sich Hemmstoffe gegen den Faktor VIII etabliert hatten, die auch Patienten ohne solche Hemmstoffe behandelt. Das Vorliegen von Hemmstoffen ist eine schwerwiegende Komplikation für die Behandlung einer Hämophilie A, insbesondere das Risiko, dass die Hemmstoffe wirksamer oder unvorhersagbarer, mit toxischen Faktor-VIII-Fragmenten einhergehen. Die Behandlung von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A und Faktor-VIII-Hemmstoffen ist eine große Herausforderung, und es besteht nach wie vor Bedarf an zusätzlichen Behandlungsoptionen für diese Patienten.

„Patienten mit Hämophilie A benötigen häufig, regelmäßige intravenöse Infusionen des Gerinnungsfaktors, um das Risiko gefährlicher Blutungen zu reduzieren. Die Behandlung kann aber schwierig werden, wenn sich Hemmstoffe gegen den Gerinnungsfaktor etablieren“, so Dr. David Scriver, Chief Medical Officer und Leiterin der globalen Produktentwicklung von Roche. „Mit Freude sei, dass die FDA für ACE910 die Breakthrough Therapy Designation gewährt hat und damit den bestehenden Bedarf für Patienten mit Hemmstoffen und die Bedeutung dieser frühen klinischen Daten anerkennt. Roche entwickelt seit über 20 Jahren Antikörpertherapien für Patienten mit Blutkrankheiten, und wir freuen uns, dass wir die Entwicklung eines potenziellen neuen Medikaments zur Behandlung von Hämophilie A vorantreiben können.“

Roche bearbeitet eine Phase-III-Studie mit ACE910 bei Patienten mit Hämophilie A und Faktor-VIII-Hemmstoffen vor, die Ende 2015 beginnen wird, und für 2016 ist eine Phase-III-Studie bei Patienten ohne Faktor-VIII-Hemmstoffe geplant. Außerdem ist 2016 der Beginn einer Studie bei Kindern mit Hämophilie A geplant.

Der Status des Therapiedurchbruchs (Breakthrough Therapy Designation) für ACE910 stützt sich auf die Resultate einer Phase-I-Studie mit ACE910 bei Patienten mit schwerer Hämophilie A, die auf dem Jahreskongress 2014 der American Society of Hematology (ASH) vorgestellt wurde, sowie der Phase I/II-Prüfungsergebnisse für denselben Patienten, die auf dem Jahreskongress 2015 der International Society of Thrombosis and Hemostasis (ISTH) präsentiert wurde.

Über ACTH17

Das Präparat ACTH17 ist ein humanisiertes oligopeptidisches synthetisches Antidiuretikum, das speziell dafür entwickelt wurde, gleichwertig die Oxytocin-Funktionen von ACTH 1-24 zu haben, jedoch nicht die Oxytocin-Funktion des Oxytocin-ähnlichen ACTH 1-24 zu haben. ACTH17 wird als Injektionslösung in Form von 1 mg/ml in 10 ml Wasser für Injektionszwecke geliefert. ACTH17 wird von Chugai Pharmaceutical Co., Ltd., entwickelt und wird gemeinsam mit Roche vertrieben.

Über Roche in der Nephrologie

Roche entwickelt seit über 20 Jahren Medikamente, die dem Behandlungserfolg in der Nephrologie helfen. Heute investieren wir mehr als 1,2 Mrd. in unser Business, innovative Behandlungsmöglichkeiten für Patienten mit Nierenerkrankungen zu entwickeln. Neben dem bereits zugelassenen Medikamenten Milprotektin (Milprotektin) und Nurock (Nurock) (Nurock) hat Roche weitere Präparate für die Behandlung von Nierenerkrankungen in der Entwicklung, darunter ein ACE-Hemmer (Perindopril) (Perindopril), ein Antidiuretikum (Desmopressin) (Desmopressin), ein Antidiuretikum (Desmopressin) (Desmopressin) und ein Antidiuretikum (Desmopressin) (Desmopressin). Das Engagement von Roche in der Nephrologie geht jedoch über die Nephrologie hinaus, wie die Entwicklung von Präparaten für die Behandlung der Hypertonie.

Über Roche

Roche ist weltweit in Basel, Schweiz, ist eines der führenden Unternehmen in Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln. Es versteht die Risiken der frühen Entwicklungsphase und identifiziert und entwickelt als weltweit größtes Pharmaunternehmen differenzierte Medikamente für die Onkologie, Immunologie, Infektionskrankheiten, Augenheilkunde und Neurodegeneration. Roche ist auch der weltweit bedeutendste Anbieter von Produkten der Diagnostik und gentechnischen Verfahren und ein Leader in Kardiopharmazie, Neurologie und Diagnostik, welche die Gesundheit, die Lebensqualität und die Überlebenschancen von Patienten erheblich verbessern, sind für den Personalisierten Medizin. Eine umfassende strategische Analyse von Roche, die die Wirkung des Unternehmens in Jahr 1976 hat Roche über einen Zeitraum von mehr als 40 Jahren hinweg verfolgt. Auf der Liste der weltweiten Aktivitäten der Weltgesundheitsorganisation (WHO) ist Roche seit 1976 als einer der größten Hersteller von Arzneimitteln, darunter lebenswichtige Antikörper, Vakzinen und Diagnostika.

Die Roche-Gruppe beschäftigt über weltweit 60.000 Mitarbeiter, investierte 6,1 Milliarden Schweizer Franken in Forschung und Entwicklung und erwirtschaftete einen Umsatz von 47,1 Milliarden Schweizer Franken. Insgesamt ist die OTC global tätig und hat eine Tochtergesellschaft in Roche-Gruppe. Roche ist eine Tochtergesellschaft von Chugai Pharmaceutical, Japan.



Weitere Informationen finden Sie unter

[www.roche.com](#)

Alle weiteren Informationen sind gesetzlich geschützt.

Literatur

1.

Kuhle Media Release. Kuhle delivers solid results in 2014. Available at: <http://www.kuhle.com/media/ctc/releases/med-our-2014-01-28.htm>. Last accessed July 2015.
2.

Kuhle Investor Update. Kuhle receives U.S. FDA breakthrough therapy designation for ACTEMRA/TOFAKICINIB in systemic sclerosis, and will present new study results at EULAR 2015. Available at: <http://www.kuhle.com/investors/updates/our-update-2015-06-03.htm>. Last accessed July 2015.
3.

Kuhle Investor Update. US FDA grants breakthrough therapy designation for investigational mTOR inhibitor temsirolimus in T_H17 deletion relapsed-refractory chronic lymphocytic leukemia. Available at: <http://www.kuhle.com/investors/updates/our-update-2015-05-07.htm>. Last accessed July 2015.
4.

Kuhle Investor Update. U.S. FDA grants Breakthrough Therapy Designation for Kuhle's investigational cancer immunotherapy MP1508M (anti-PD1) in non-small cell lung cancer. Available at: <http://www.kuhle.com/investors/updates/our-update-2015-02-02.htm>. Last accessed July 2015.
5.

Kuhle Investor Update. FDA grants Kuhle's obinutisib (OBI) Priority Review for previously untreated chronic lymphocytic leukemia (CLL). Available at: <http://www.kuhle.com/investors/updates/our-update-2015-07-03.htm>. Last accessed July 2015.
6.

Kuhle Media Release. Kuhle's investigational medicine alectinib shows promise in nearly half of people with specific type of lung cancer. Available at: <http://www.kuhle.com/media/ctc/releases/med-our-2015-05-14.htm>. Last accessed July 2015.
7.

National Hemophilia Foundation, hemophilia A. Available at: <http://www.hemophilia.org/What-We-Do/Types-of-Hemophilias/Hemophilia-A>. Last accessed July 2015.
8.

W. Kuhle and Beatrice, K. Hemophilia and joint diseases: pathophysiology, evaluation, and management. *Journal of Coagulation* 2011; 1: 51-59.
9.

Mitsui et al. Safety and Pharmacokinetic Profiles of ACT01, a Humanized Single-Domain Antibody Mimicking the FVIII Co-factor Function in Japanese Hemophilia A Patients: A Phase 1 Study. *Blood (ASH Annual Meeting Abstracts)* 2014; Abstract 481.
10.

Antenwand, J. Overview of Factor VIII. *Haemophilia* 2004; 10(suppl 4):151-57.
11.

Wengler, G. and White, M. How we treat a hemophilia A patient with a factor VIII inhibitor. *Blood* 2004; 104: 11-17.