

Shire gibt die europaweite Zulassung von VPRIV[®] (Velaglucerase alfa) zur Behandlung von Morbus Gaucher Typ 1 bekannt

Berlin – 26. August 2010 – Shire plc (LSE: SHP, NASDAQ: SHPGY), weltweit tätiger Anbieter von Spezial- und Biotech-Pharmaka, hat heute die Zulassung von VPRIV[®] (Velaglucerase alfa) durch die Europäische Kommission bekannt gegeben. VPRIV[®] ist eine aus humanen Zelllinien gewonnene Enzymersatztherapie zur Langzeitbehandlung von Morbus Gaucher Typ 1 bei Kindern und Erwachsenen. VPRIV[®] wurde durch das zentralisierte Zulassungsverfahren als Arzneimittel für seltene Erkrankungen (Orphan Drug) zugelassen und darf somit europaweit in 30 Ländern vertrieben werden.

Grundlage der Zulassung waren Daten aus Shires klinischem Studienprogramm zu VPRIV[®], dem größten und umfassendsten Studienprogramm, das bislang im Rahmen eines Zulassungsantrags für eine Enzymersatztherapie bei Morbus Gaucher Typ 1 eingereicht wurde. Insgesamt nahmen mehr als 100 Morbus-Gaucher-Patienten an 24 Prüfzentren in weltweit 10 Ländern an den klinischen Studien teil. Alle Patienten erreichten den primären Endpunkt.

„Morbus Gaucher ist eine seltene, für die Betroffenen aber sehr belastende Erkrankung“, kommentierte Professor Michael Beck von der Kinderklinik der Universität Mainz und Leiter des größten deutschen Zentrums zur Diagnostik, Behandlung und Erforschung lysosomaler Speicherkrankheiten (Villa Metabolica). „Mit der europaweiten Zulassung von VPRIV[®] steht uns jetzt ein weiteres zugelassenes therapeutisches Enzym zur Verfügung, das es ermöglicht, diese komplexe Erkrankung patientenindividuell zu behandeln.“

Europaweit haben hunderte von Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 VPRIV[®] im Rahmen so genannter „Early Access“-Programme erhalten. Diese Programme wurden in partnerschaftlicher Zusammenarbeit zwischen den nationalen Gesundheitsbehörden, medizinischen Experten für Morbus Gaucher und Patientenvereinigungen entwickelt. Weltweit werden zur Zeit mehr als 850 Patienten mit VPRIV[®] behandelt, und es besteht eine anhaltend starke Nachfrage. Aus diesem Grunde hat Shire ein Programm zur sorgfältigen Ermittlung des Bedarfs und zum Management der Nachfrage seitens Ärzten und Patienten gestartet, um eine Langzeitbehandlung mit VPRIV[®] ohne Unterbrechungen zu gewährleisten.

„Die Marktzulassung für VPRIV[®] in der EU ist ein wichtiger Meilenstein für Shire“, kommentierte Sylvie Grégoire, President, Shire Human Genetic Therapies. „Unsere Bemühungen, die Herstellung, das klinische Studienprogramm und die Zulassung zu beschleunigen, haben sich ausgezahlt, so dass VPRIV[®] in Europa und den USA Monate früher als ursprünglich geplant zugelassen werden konnte.“

Informationen zu VPRIV[®]

Velaglucerase alfa wird auf Basis der Genaktivierungstechnologie von Shire in einer humanen Zelllinie hergestellt. VPRIV[®] besitzt die gleiche humane Aminosäuresequenz wie das endogene Enzym Glucocerebrosidase und verfügt außerdem über ein humanes Glykosylierungsmuster. Die Sicherheit und Wirksamkeit von VPRIV[®] wurde in einem Phase-III-Studienprogramm bei Erwachsenen und Kindern mit einem Mindestalter von 4 Jahren untersucht. Eingeschlossen wurden einerseits Morbus-Gaucher-Patienten, die nach einer Behandlung mit Imiglucerase auf VPRIV[®]

umgestellt wurden, andererseits zuvor unbehandelte Patienten, die direkt mit Patienten mit Imiglucerase-Therapie verglichen wurden. In den Vereinigten Staaten wurde VPRIV[®] am 26. Februar 2010 von der Food and Drug Administration (FDA) zugelassen.

Wichtige Sicherheitshinweise

Die schwerwiegendsten unerwünschten Ereignisse bei den mit VPRIV[®] behandelten Patienten waren Überempfindlichkeitsreaktionen.

Infusionsbedingte Reaktionen stellten bei Patienten, die im Rahmen klinischer Studien mit VPRIV[®] behandelt wurden, die häufigsten unerwünschten Ereignisse dar. Als häufigste infusionsbedingte Reaktionen wurden Kopfschmerzen, Schwindel, Hypotonie, Hypertonie, Übelkeit, Schwäche/Erschöpfung und Fieber beobachtet. In der Regel nahmen die infusionsbedingten Reaktionen eine leichte Verlaufsform. Bei zuvor unbehandelten Patienten traten die Reaktionen vornehmlich in den ersten 6 Behandlungsmonaten auf und wurden im Laufe der Zeit seltener. Weitere häufig beobachtete unerwünschte Ereignisse (>10 % der Patienten) waren Bauchschmerzen, Rückenschmerzen, Gelenkschmerzen, Infektionen der oberen Atemwege und Verlängerung der aktivierten partiellen Thromboplastinzeit. Unerwünschte Reaktionen, die vermehrt bei pädiatrischen Patienten (>10 % Unterschied) auftraten, waren Infektionen der oberen Atemwege, Hautausschlag, verlängerte aktivierte partielle Thromboplastinzeit und Fieber. In den klinischen Studien entwickelte ein Patient neutralisierende Antikörper.

Morbus Gaucher

Morbus Gaucher ist eine autosomal rezessiv vererbte Erkrankung, die durch Mutation auf dem GBA-Gen verursacht wird. Daraus resultiert ein Mangel des lysosomalen Enzyms Beta-Glucocerebrosidase, wodurch Glucocerebroside nicht abgebaut werden, sondern überwiegend in den Makrophagen akkumulieren. Das typische klinische Bild dieser lysosomalen Speicherkrankheit erklärt sich aus der Verteilung dieser vergrößerten Makrophagen, auch Gaucher-Zellen genannt, in der Leber, Milz, dem Knochenmark und anderen Organen. In Leber und Milz führt die Anhäufung der Glucocerebroside zur auffälligen Organvergrößerung. In Knochenmark und Leber verdrängen die Gaucher-Zellen die blutbildenden Zellen und führen dadurch zu einer klinisch signifikanten Anämie und Thrombozytopenie.

Morbus Gaucher ist, obwohl insgesamt sehr selten, die häufigste lysosomale Speicherkrankheit und wird in drei verschiedene Typen unterteilt. Typ I kommt am häufigsten vor und ist charakterisiert durch unterschiedliche Ausprägung der klinischen Anzeichen, Symptome, Schweregrade und Verläufe. Von Typ II und III, die sehr viel seltener als Typ I sind, unterscheidet sich diese Verlaufsform durch das Fehlen früher neurologischer Symptome.

Shire PLC

Strategisches Ziel von Shire ist es, sich als führendes Unternehmen für Spezialbiopharmaka zu etablieren und dabei schwerpunktmäßig den Anforderungen von Fachärzten gerecht zu werden. Der Hauptfokus der Geschäftstätigkeit von Shire liegt auf der Aufmerksamkeitsdefizit- und Hyperaktivitätsstörung (ADHD), humanen Gentherapie (HGT) und Magen-Darmerkrankungen sowie anderen therapeutischen Bereichen, die sich im Zuge von Übernahmen ergeben. Shires Bemühungen um Einlizenzierungen, Fusionen und Neuerwerbungen konzentrieren sich auf Produkte in Nischenmärkten mit strengem Schutz von geistigem Eigentum und weltweiten Rechten. Shire ist davon überzeugt, dass ein sorgfältig ausgewähltes Produktportfolio mit einem strategisch ausgerichteten und relativ kleinen Verkaufsteam bedeutende Ergebnisse erzielen kann. Für weitere Informationen über Shire besuchen Sie bitte die Website des Unternehmens: www.shire.com.

"SAFE HARBOR"-ERKLÄRUNG NACH DEM PRIVATE SECURITIES LITIGATION REFORM ACT VON 1995

Aussagen in dieser Pressemitteilung, die keine historischen Tatsachen wiedergeben, sind zukunftsorientierte Aussagen. Solche zukunftsorientierten Aussagen gehen mit einer Reihe von Risiken und Unwägbarkeiten einher und können sich jederzeit ändern. Sollten solche Risiken und Unwägbarkeiten zum Tragen kommen, so könnte dies einen deutlich negativen Einfluss auf die Ergebnisse des Unternehmens ausüben. Zu diesen Risiken und Unwägbarkeiten gehören u. a. folgende Risiken: die naturgemäße Unsicherheit von Forschung, Entwicklung, Genehmigung, Kostenerstattung, Herstellung und Vermarktung der Spezialpharmaka und der humanen Gentherapien des Unternehmens sowie die Fähigkeit zur Sicherung und Integration neuer Produkte für die Vermarktung und/oder Entwicklung, die behördlichen Bestimmungen zu Produkten des Unternehmens, die Fähigkeit des Unternehmens, seine Produkte in bedarfsgerechter Menge zu produzieren, die Auswirkungen von Konkurrenzpräparaten auf die Produkte des Unternehmens, die Fähigkeit des Unternehmens, Patente und andere Rechte des geistigen Eigentums zu seinen Produkten zu registrieren, zu unterhalten und durchzusetzen, die Fähigkeit des Unternehmens die Kostenerstattungen seiner Produkte durch staatliche und andere Drittstellen zu erreichen und zu erhalten sowie andere Risiken und Unwägbarkeiten, die in den von Zeit zu Zeit bei der US-Börsenaufsichtsbehörde Securities and Exchange Commission eingereichten Unterlagen genauer dargelegt sind.

###

Pressekontakt

Patzer PR Köln
Dr. Michael Bonk
Hansaring 61
50670 Köln

Tel.: +49 221 1612-142
michael.bonk@patzer-pr.com
www.patzer-pr.com

Herausgeber

Shire Deutschland GmbH
Geschäftsbereich Human Genetic Therapies
Birgit Leier
Friedrichstraße 149
10117 Berlin

Tel.: +49 30 206 582-0
bleier@shire.com
www.shire.de