



Sept. 26, 2012 01:52 UTC

Vertex annonce la présentation de données lors de la conférence sur la mucoviscidose en Amérique du Nord (North American Cystic Fibrosis Conference)

CAMBRIDGE dans l'État du Massachusetts--([BUSINESS WIRE](#))-- Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) a annoncé aujourd'hui que 10 extraits de son programme de recherche et développement sur la mucoviscidose seront présentés lors de la 26ème édition annuelle de la North American Cystic Fibrosis Conference (NACFC) à Orlando dans l'État de Floride, du 11 au 13 octobre 2012. Des données précédemment annoncées issues d'une étude de Phase 2 du VX-809 combiné à l'ivacaftor chez les personnes présentant la mutation la plus courante du gène régulateur de conductance transmembranaire de la mucoviscidose (*CFTR*), le F508del, seront présentées en exclusivité. Des données supplémentaires issues du travail de Vertex pour découvrir et développer des médicaments qui ciblent la cause à l'origine de la mucoviscidose seront également présentées, notamment des données sur le KALYDECO™ (ivacaftor) chez les personnes atteintes de mucoviscidose avec une mutation du G551D.

Les extraits acceptés sont désormais disponibles sur le site Web de la NACFC à l'adresse: <https://www.nacconference.org/>.

Extraits de Vertex (*les présentations orales seront également présentées sous forme d'affiches*)

1. « Hyperpolarized Gas MRI of Ivacaftor Therapy in Persons with Cystic Fibrosis and the *G551D-CFTR* Mutation. » Affiche N°196. Une présentation orale est programmée pour le 11 octobre 2012 à 10h55 HAE.
2. « The Investigational *CFTR* Corrector, VX-809 (Lumacaftor) Co-Administered with the Oral Potentiator Ivacaftor Improved *CFTR* and Lung Function in *F508DEL* Homozygous Patients: Phase II Study Results. » Affiche N°260. Une présentation orale est programmée pour le 11 octobre 2012 à 11h40 HAE.
3. « Identification and Characterization of *CFTR* Corrector VRT-534 (C-18). » Affiche N°30.
4. « Ivacaftor Potentiates Multiple Mutant Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (*CFTR*) Forms. » Affiche N°31.
5. « Long-Term Safety and Efficacy of Ivacaftor in Persons with Cystic Fibrosis who have the *G551D-CFTR* Mutation. » Affiche N°211.
6. « Patient-Reported Outcomes in Phase 3 Trials of Ivacaftor in Subjects with CF who have the *G551D-CFTR* Mutation. » Affiche N°212.
7. « Nutritional Status Measures Among Persons with CF Carrying the *G551D-CFTR* Mutation who Received Ivacaftor or Placebo in Phase 3 Clinical Trials. » Affiche N°214.
8. « Lung Clearance Index to Evaluate the Effect of Ivacaftor on Lung Function in Subjects with CF who have the *G551D-CFTR* Mutation and Mild Lung Disease. » Affiche N°249.

9. « Exposure-Response Relationship for FEV₁ and Sweat Chloride in Patients with Cystic Fibrosis Treated with Ivacaftor, a CFTR Potentiator. » Affiche N°235.

10. « Clinical Pharmacology Profile of Ivacaftor, a CFTR Potentiator. » Affiche N°236.

À propos du KALYDECO

Le KALYDECO™ (ivacaftor) est le premier traitement à cibler la cause à l'origine de la mucoviscidose chez les personnes présentant une mutation G551D du gène *CFTR*. Appelé le potentialisateur du CFTR, le KALYDECO est un médicament oral qui vise à aider la protéine du CFTR à fonctionner plus normalement une fois qu'elle atteint la surface cellulaire, permettant ainsi d'hydrater et d'éliminer le mucus des voies respiratoires. Le KALYDECO (150 mg toutes les 12 h) a d'abord été approuvé aux États-Unis par la Food and Drug Administration en janvier 2012 et par l'Agence européenne des médicaments en juillet 2012, pour une administration aux personnes d'au moins 6 ans atteintes de la mucoviscidose, qui présentent au moins une copie de la mutation G551D du gène *CFTR*.

Vertex conserve les droits internationaux pour développer et commercialiser le KALYDECO. Le KALYDECO fait actuellement l'objet d'un examen prioritaire mené par le Therapeutic Product Directorate (TPD) of Health Canada et une demande d'examen a été soumise à la Therapeutic Goods Administration (TGA) d'Australie.

Indication et informations de sécurité importantes pour le KALYDECO (ivacaftor)

Le KALYDECO (en comprimés de 150 mg) est indiqué pour le traitement de la mucoviscidose chez les patients d'au moins 6 ans qui présentent une mutation G551D du gène *CFTR*.

Le KALYDECO n'est pas indiqué pour les personnes atteintes de mucoviscidose du fait d'autres mutations du gène *CFTR*. Il n'est pas efficace sur les patients atteints de mucoviscidose qui présentent deux copies de la mutation F508del (F508del/F508del) du gène *CFTR*.

Une augmentation des enzymes hépatocytaires (transaminases, ALAT et ASAT) a été signalée chez les patients sous KALYDECO. Il est conseillé d'évaluer l'ALAT et l'ASAT avant de démarrer le KALYDECO, tous les 3 mois au cours de la première année de traitement et chaque année par la suite. Les patients qui développent une augmentation des niveaux de transaminases doivent être surveillés de près jusqu'à la résolution des anomalies. Le dosage doit être interrompu chez les patients dont l'ALAT et l'ASAT dépassent de 5 fois la limite supérieure normale. Suite à la résolution des élévations de transaminases, considérer les avantages et les risques d'une reprise du dosage de KALYDECO. Les élévations de transaminases modérées sont courantes chez les sujets atteints de mucoviscidose. Dans l'ensemble, l'incidence et les caractéristiques cliniques des élévations de transaminases lors des essais cliniques étaient similaires entre les sujets des groupes de traitement sous KALYDECO et sous placebo. Dans le sous-ensemble de patients ayant des antécédents médicaux de transaminases élevées, l'augmentation de l'ALAT ou de l'ASAT a été plus fréquemment signalée chez les patients sous KALYDECO par rapport au placebo.

L'utilisation du KALYDECO avec des médicaments qui sont des inducteurs de CYP3A puissants comme les antibiotiques rifampine et rifabutine; des médicaments anticonvulsifs (phénobarbital, carbamazépine ou phénytoïne); et le complément à base de millepertuis réduit considérablement l'exposition du KALYDECO, ce qui peut en diminuer l'efficacité. Une co-administration est donc déconseillée.

La dose de KALYDECO doit être ajustée lorsqu'il est administré en combinaison avec des inhibiteurs de CYP3A puissants et modérés.

Le KALYDECO peut entraîner de graves effets indésirables, comme des douleurs au ventre et une élévation des enzymes hépatocytaires dans le sang. Les effets secondaires les plus courants associés au

KALYDECO incluent: maux de tête; infection des voies respiratoires supérieures (le rhume), notamment maux de gorge, congestion nasale ou sinusale et nez qui coule; douleurs à l'estomac (ventre); diarrhée; démangeaisons; et vertiges. Ce ne sont là que quelques illustrations des éventuels effets secondaires du KALYDECO. Une liste des effets indésirables figure sur l'étiquetage complet du produit pour chaque pays où le KALYDECO est approuvé. Les patients doivent informer leurs fournisseurs de soins de santé en cas d'effet secondaire gênant ou persistant.

Veillez consulter l'intégralité des informations de prescription aux États-Unis pour le KALYDECO sur www.KALYDECO.com et le récapitulatif des caractéristiques de produit de l'UE pour le KALYDECO sur <http://goo.gl/N3Tz4>.

À propos de la mucoviscidose

La mucoviscidose est une maladie génétique rare potentiellement mortelle qui affecte environ 30 000 personnes aux États-Unis et 70 000 personnes à travers le monde. Aujourd'hui, l'âge moyen de survie pour une personne atteinte de mucoviscidose est prédit à environ 38 ans aux États-Unis, mais l'âge de décès moyen demeure dans le milieu de la vingtaine.

La mucoviscidose provient de protéines de CFTR défectueuses ou manquantes découlant de mutations du gène *CFTR*. Les enfants doivent hériter de deux gènes *CFTR* défectueux — un de chaque parent — pour contracter la mucoviscidose. Il y a plus de 1 800 mutations connues dans le gène *CFTR*. Certaines de ces mutations, qui peuvent être déterminées par un test génétique ou de génotype, entraînent la mucoviscidose en créant des protéines CFTR qui fonctionnent mal ou trop peu nombreuses au niveau de la surface cellulaire. L'absence de protéines CFTR fonctionnelles entraîne une mauvaise circulation du sel et de l'eau dans et hors de la cellule dans un certain nombre d'organes, notamment les poumons.

Collaborative History with Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics, Inc. (CFFT)

Vertex a lancé son programme de recherche sur la mucoviscidose en 1998 dans le cadre d'une collaboration avec CFFT, la filiale à but non lucratif de découverte et de développement de médicaments de la Cystic Fibrosis Foundation. Cette collaboration a été étendue pour soutenir la découverte et le développement accélérés des modulateurs de CFTR de Vertex.

À propos de la Cystic Fibrosis Foundation

La Cystic Fibrosis Foundation est le leader mondial dans la recherche d'une cure pour la mucoviscidose. La fondation finance plus de recherches contre la mucoviscidose que n'importe quelle autre organisation et pratiquement tous les médicaments contre la mucoviscidose disponibles aujourd'hui ont été possibles grâce au soutien de la fondation. Basée à Bethesda dans l'État du Maryland, la fondation soutient et accrédite également un réseau national de centres de soins qui a été reconnu par les instituts de santé nationaux comme un modèle de soins pour une maladie chronique. La CF Foundation est une organisation à but non lucratif soutenue par des donateurs. Pour plus d'informations, visitez www.cff.org.

Vertex en bref

Vertex crée de nouvelles possibilités dans le domaine de la médecine. Nos équipes découvrent, développent et commercialisent des thérapies innovantes pour que les personnes atteintes de maladies graves puissent vivre mieux.

Les scientifiques de Vertex et nos collaborateurs travaillent sur de nouveaux médicaments pour guérir ou faire avancer considérablement le traitement contre l'hépatite C, la fibrose cystique, l'arthrite rhumatoïde et d'autres maladies potentiellement mortelles.

Après avoir démarré il y a plus de 20 ans à Cambridge dans l'État du Massachusetts, nous disposons

maintenant de programmes et sites internationaux de recherches en cours aux États-Unis, au Royaume-Uni et au Canada. Aujourd'hui, Vertex compte plus de 2 000 employés dans le monde et, pour la troisième année consécutive, le magazine *Science* a nommé Vertex parmi ses meilleurs employeurs dans les sciences de la vie.

VRTX – GEN

Le texte du communiqué issu d'une traduction ne doit d'aucune manière être considéré comme officiel. La seule version du communiqué qui fasse foi est celle du communiqué dans sa langue d'origine. La traduction devra toujours être confrontée au texte source, qui fera jurisprudence.

Contacts

Vertex Pharmaceuticals Incorporated

Médias:

Dawn Kalmar

Megan Goulart

617-444-6992

mediainfo@vrtx.com

ou

Investisseurs:

Michael Partridge, 617-444-6108

ou

Kelly Lewis, 617-444-7530

Source: Vertex Pharmaceuticals Incorporated

