



Sept. 26, 2012 03:49 UTC

La société Vertex annonce qu'elle communiquera des données à l'occasion de la North American Cystic Fibrosis Conference

CAMBRIDGE, Massachusetts--([BUSINESS WIRE](#))-- La société Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) a annoncé aujourd'hui qu'elle présentera 10 résumés de son programme de recherche et de développement dans le domaine de la mucoviscidose, à l'occasion de la 26e Conférence nord-américaine sur la mucoviscidose (North American Cystic Fibrosis Conference, NACFC) annuelle qui se tiendra à Orlando, en Floride, du 11 au 13 octobre 2012. Les données antérieurement annoncées, qui proviennent d'une étude de Phase 2 portant sur du VX-809 combiné à de l'ivacaftor chez les patients présentant la mutation la plus fréquente du gène responsable de la mucoviscidose, le gène CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (*CFTR*), F508del, seront présentées pour la première fois. D'autres données issues du travail que Vertex effectue pour découvrir et mettre au point des médicaments qui ciblent la cause sous-jacente de la mucoviscidose seront également fournies, notamment des données sur KALYDECO™ (ivacaftor) chez les patients atteints de mucoviscidose avec une mutation G551D.

Les résumés, qui ont été acceptés, sont maintenant disponibles sur le site Web de la NACFC à : <https://www.nacconference.org/>.

Résumés de Vertex (*Des présentations orales avec affiches sont également prévues.*)

1. "Hyperpolarized Gas MRI of Ivacaftor Therapy in Persons with Cystic Fibrosis and the *G551D-CFTR* Mutation." Affiche n° 196. Présentation orale prévue pour le 11 octobre 2012 à 10 h 55 EDT (Eastern Daylight Time, c.-à-d. heure d'été de la côte est des États-Unis)
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. Présentation orale prévue pour le 11 octobre 2012 à 11 h 40 EDT
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*. Connue en tant que potentialisateur de CFTR, le KALYDECO est un médicament à administrer par voie orale qui vise à aider la protéine CFTR à fonctionner plus normalement une fois qu'elle a atteint la surface cellulaire, afin de permettre d'hydrater et d'éliminer les mucosités des voies respiratoires. Le KALYDECO (150 mg, q12h) a d'abord été approuvé par l'U.S. Food and Drug Administration en janvier 2012 et par l'Agence européenne des médicaments en juillet 2012, pour une utilisation chez les personnes de 6 ans et plus atteintes de mucoviscidose qui ont au moins une copie de la mutation G551D du gène *CFTR*.

Vertex conserve les droits mondiaux pour développer et commercialiser le KALYDECO. Le KALYDECO est en cours d'examen prioritaire auprès du 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 importantes relatives à la sécurité du KALYDECO (ivacaftor)

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

Le KALYDECO ne doit pas être utilisé chez les patients atteints de mucoviscidose en raison d'autres mutations du gène *CFTR*. Il n'est pas efficace chez les patients atteints de mucoviscidose qui ont deux copies de la mutation F508del (F508del/F508del) du gène *CFTR*.

Un taux plus élevé d'enzymes du foie (transaminases, ALT et AST) a été signalé chez les patients qui prenaient du KALYDECO. Des tests de la fonction hépatique (ALT et AST) sont recommandés avant le début d'un traitement sous KALYDECO, tous les trois mois au cours de la première année de traitement, et chaque année par la suite. Les patients qui développent des taux accrus de transaminases doivent être surveillés de près jusqu'à ce que les anomalies disparaissent. La posologie doit être interrompue chez les patients dont le taux ALT ou AST est plus que cinq fois supérieur à la limite supérieure de la normale. Une fois les élévations de transaminases résolues, il faut examiner l'intérêt de reprendre le traitement après une évaluation des bénéfices et des risques individuels. Des élévations modérées lors de tests de la fonction hépatique (transaminases) sont courantes chez les sujets atteints de mucoviscidose. Dans l'ensemble, l'incidence et les caractéristiques cliniques des élévations des transaminases lors d'essais cliniques étaient similaires entre les sujets des groupes de traitement sous KALYDECO et ceux sous placebo. Dans le sous-ensemble de patients ayant des antécédents médicaux de transaminases élevées, des augmentations des taux ALT ou AST ont été signalées plus fréquemment chez les patients sous KALYDECO par rapport à ceux qui étaient sous placebo.

L'utilisation du KALYDECO avec des produits médicamenteux qui induisent une forte activité de la CYP3A, tels que les antibiotiques rifampin et rifabutin ; les médicaments utilisés pour traiter les épilepsies (le phénobarbital, la carbamazépine, ou la phénytoïne) ; et les herbes de la Saint Jean (supplément à base de plantes) réduit considérablement l'exposition du KALYDECO, ce qui risque de limiter son efficacité. Par conséquent, la co-administration n'est pas recommandée.

La dose de KALYDECO doit être ajustée lorsqu'on l'utilise simultanément avec des inhibiteurs de CYP3A puissants et modérés.

Le KALYDECO peut causer des réactions indésirables graves, notamment des douleurs abdominales et

des niveaux d'enzymes élevés dans le sang. Les réactions indésirables les plus courantes chez les patients traités au KALYDECO sont : maux de tête ; infection au niveau des voies respiratoires supérieures (rhume courant), notamment maux de gorge, congestion nasale ou des sinus, et nez qui coule ; maux d'estomac (douleurs abdominales) ; diarrhée ; démangeaisons ; et vertiges. Cette liste des effets secondaires potentiels du KALYDECO n'est pas exhaustive. La liste complète des réactions indésirables figure dans l'étiquetage du produit pour chaque pays qui a approuvé l'utilisation du KALYDECO. Les patients doivent signaler à leurs prestataires de santé tout effet secondaire qui les gêne ou qui ne disparaît pas.

Veuillez consulter les informations complètes sur la prescription du KALYDECO aux États-Unis sur le site www.KALYDECO.com et le Summary of Product Characteristics (récapitulatif des caractéristiques du produit) pour KALYDECO de l'Union européenne à <http://goo.gl/N3Tz4>.

À propos de la mucoviscidose

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

La mucoviscidose est causée par l'absence ou l'anomalie de protéines CFTR en raison de mutations du *CFTR*. Un enfant doit hériter deux gènes *CFTR*. Un enfant doit hériter deux gènes anormaux, un de chaque parent, pour être atteint de mucoviscidose. Plus de 1 800 mutations du gène *CFTR* sont connues. Certaines de ces mutations, qu'il est possible de détecter à l'aide d'un test génétique ou de génotype, entraînent une mucoviscidose en créant des protéines CFTR qui ne fonctionnent pas ou qui sont trop peu nombreuses au niveau de la surface cellulaire. L'absence de fonctionnement des protéines CFTR se traduit par une mauvaise circulation du sel et de l'eau vers et depuis la cellule dans un certain nombre d'organes, notamment les poumons.

Historique de la collaboration avec 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 Fondation de la mucoviscidose. Cette collaboration a été étendue pour soutenir l'accélération de la découverte et du développement des modulateurs de CFTR de Vertex.

À propos de la Fondation de la mucoviscidose

La Fondation de la mucoviscidose est le leader mondial dans la recherche d'un traitement contre la mucoviscidose. La fondation finance plus de recherches sur la mucoviscidose que n'importe quelle autre organisation, et presque chaque médicament contre la mucoviscidose actuellement disponible a été produit 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 nationaux de santé comme un modèle de soins pour une maladie chronique. La Fondation de la mucoviscidose est une organisation à but non lucratif soutenue par des donateurs. Pour des informations complémentaires, consultez 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

améliorer significativement le traitement des hépatites C, de la mucoviscidose, de la polyarthrite rhumatoïde, et d'autres maladies potentiellement mortelles.

Fondée il y a plus de 20 ans à Cambridge, dans le Massachusetts, la société Vertex dispose désormais de programmes et de sites de recherche mondiaux aux États-Unis, au Royaume-Uni et au Canada. Aujourd'hui, Vertex emploie plus de 2 000 personnes à travers le monde, et le magazine *Science* a classé la société en première position de sa liste des principaux employeurs dans le secteur des sciences de la vie, pendant trois ans d'affilée.

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

or

Kelly Lewis, 617-444-7530

Source: Vertex Pharmaceuticals Incorporated

View this news release online at:

<http://www.businesswire.com/news/home/20120925006936/fr>

