



Sept. 25, 2012 19:58 UTC

Vertex kündigt Präsentation von Studienergebnissen auf nordamerikanischer Mukoviszidose-Konferenz an

CAMBRIDGE, Massachusetts--(BUSINESS WIRE)-- Vertex Pharmaceuticals Incorporated (Nasdaq: VRTX) gab heute bekannt, dass es 10 Zusammenfassungen von Ergebnissen aus seinem Mukoviszidose (CF)-Forschungs- und Entwicklungsprogramm auf der 26. jährlichen North American Cystic Fibrosis Conference (NACFC) vorstellen wird, die vom 11. bis 13. Oktober 2012 in Orlando im US-Bundesstaat Florida stattfindet. Zuvor bereits angekündigte Ergebnisse einer Phase-2-Studie zu VX-809 in Kombination Ivacaftor bei Patienten mit der häufigsten Mutation im *CFTR* (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator)-Gen, F508del, werden erstmalig vorgestellt. Darüber hinaus werden weitere Ergebnisse der Bemühungen von Vertex, Wirkstoffe zu finden und zu entwickeln, die bei der zugrunde liegenden Ursache der Mukoviszidose ansetzen, vorgestellt, darunter Studienergebnisse zu KALYDECO™ (Ivacaftor) bei Mukoviszidose-Patienten mit G551D-Mutation.

Die angenommenen Zusammenfassungen (Abstracts) sind jetzt auf der Website der NACFC unter <https://www.nacfconference.org/> verfügbar.

Abstracts von Vertex *(Vorträge werden auch als Poster präsentiert)*

1. "Hyperpolarized Gas MRI of Ivacaftor Therapy in Persons with Cystic Fibrosis and the *G551D-CFTR* Mutation." Poster Nr.196. Ein Vortrag ist für den 11. Oktober 2012, 10:55 Uhr EDT vorgesehen.
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." Poster Nr.260. Ein Vortrag ist für den 11. Oktober 2012, 11:40 Uhr EDT vorgesehen.
3. "Identification and Characterization of *CFTR* Corrector VRT-534 (C-18)." Poster Nr. 30.
4. "Ivacaftor Potentiates Multiple Mutant Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (*CFTR*) Forms." Poster Nr. 31.
5. "Long-Term Safety and Efficacy of Ivacaftor in Persons with Cystic Fibrosis who have the *G551D-CFTR* Mutation." Poster Nr. 211.
6. "Patient-Reported Outcomes in Phase 3 Trials of Ivacaftor in Subjects with CF who have the *G551D-CFTR* Mutation." Poster Nr. 212.
7. "Nutritional Status Measures Among Persons with CF Carrying the *G551D-CFTR* Mutation who Received Ivacaftor or Placebo in Phase 3 Clinical Trials." Poster Nr. 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." Poster Nr. 249.
9. "Exposure-Response Relationship for FEV₁ and Sweat Chloride in Patients with Cystic Fibrosis Treated with Ivacaftor, a *CFTR* Potentiator." Poster Nr. 235.

10. "Clinical Pharmacology Profile of Ivacaftor, a CFTR Potentiator." Poster Nr. 236.

Über KALYDECO

KALYDECO™ (Ivacaftor) ist das erste Therapeutikum, das auf die zugrunde liegende Ursache der Mukoviszidose bei Patienten mit G551D-Mutation im *CFTR*-Gen abzielt. Das als CFTR-Potentiator bekannte KALYDECO ist ein oral verabreichtes Medikament, das zur Normalisierung der Funktion des CFTR-Proteins bei Erreichen der Zelloberfläche beitragen soll, um so den Wassergehalt des Schleims zu erhöhen und dessen Abtransport aus den Luftwegen zu erleichtern. Im Januar 2012 erhielt KALYDECO (150 mg, q12h) zunächst die Zulassung durch die US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA, gefolgt im Juli 2012 von der Zulassung durch die Europäische Arzneimittelagentur, für den Einsatz bei Menschen mit Mukoviszidose im Alter von mindestens 6 Jahren, die mindestens eine Kopie der G551D-Mutation im *CFTR*-Gen aufweisen.

Vertex besitzt die weltweiten Rechte zur Entwicklung und Vermarktung von KALYDECO. KALYDECO befindet sich zur Zeit unter Vorrangprüfung bei der kanadischen Gesundheitsbehörde (Therapeutic Product Directorate/TPD) und ein Prüfungsantrag wurde der Therapeutic Goods Administration (TGA) in Australien vorgelegt.

Indikation und wichtige Sicherheitsinformationen zu KALYDECO (Ivacaftor)

KALYDECO (150mg Tabletten) ist indiziert bei der Behandlung von Patienten mit Mukoviszidose (CF) im Alter von mindestens 6 Jahren, die eine G551D-Mutation im *CFTR*-Gen aufweisen.

KALYDECO ist nicht für den Gebrauch bei Mukoviszidose-Patienten geeignet, bei denen andere Mutationen im *CFTR*-Gen die Krankheit hervorrufen. Es ist nicht wirksam bei Mukoviszidose-Patienten mit zwei Kopien der F508del-Mutation (F508del/F508del) im *CFTR*-Gen.

Über eine Erhöhung der Leberenzymwerte (Transaminasen, ALT und AST) wurde bei Patienten unter der Behandlung mit KALYDECO berichtet. Die Bestimmung von ALT (GPT) und AST (GOT) wird daher vor Einleitung der Behandlung mit KALYDECO, alle 3 Monate während des ersten Jahres der Behandlung und anschließend jährlich empfohlen. Patienten mit einem Anstieg der Transaminasen sollten bis zur Normalisierung der Werte engmaschig kontrolliert werden. Bei Patienten mit Anstieg der ALT- oder AST-Werte auf mehr als das Fünffache des oberen Normwerts sollte die Behandlung unterbrochen werden. Nach erfolgter Normalisierung der erhöhten Transaminasenwerte sollten die Vorteile und Risiken einer Wiederaufnahme der KALYDECO-Verabreichung gegeneinander abgewogen werden. Eine mäßige Erhöhung der Transaminasen ist bei Patienten mit Mukoviszidose häufig zu beobachten. Insgesamt waren sowohl die Häufigkeit des Auftretens von Transaminasenerhöhungen als auch deren klinische Zeichen bei Patienten der KALYDECO- und der Placebobehandlungsgruppen in den klinischen Studien ähnlich. In der Untergruppe der Patienten mit erhöhten Transaminasen in der Vorgeschichte wurde bei mit KALYDECO behandelten Patienten häufiger über ALT- bzw. AST-Erhöhungen berichtet als bei Placebobehandlung.

Die gemeinsame Verabreichung von KALYDECO mit Arzneimitteln, die eine starke Induktion der Aktivität des Enzyms CYP3A hervorrufen, beispielsweise die Antibiotika Rifampin und Rifabutin, Antiepileptika (Phenobarbital, Carbamazepin oder Phenytoin) und das Phytotherapeutikum Johanniskraut führen zu einer deutlichen Senkung der Exposition gegenüber KALYDECO, die möglicherweise zu einer Verminderung der Wirksamkeit führt. Aus diesem Grund wird eine gemeinsame Verabreichung nicht empfohlen.

Bei gleichzeitiger Gabe von starken oder mittelstarken CYP3A-Inhibitoren ist eine Anpassung der Dosierung von KALYDECO erforderlich.

KALYDECO kann schwerwiegende unerwünschte Reaktionen hervorrufen, darunter Bauchschmerzen und hohe Leberenzymwerte im Blut. Zu den häufigsten Nebenwirkungen der KALYDECO-Behandlung

zählten Kopfschmerzen, Infektionen der oberen Luftwege (grippaler Infekt), einschließlich Halsschmerzen, Verstopfung von Nase oder Nasennebenhöhlen und Schnupfen, sowie Magen- (Bauch-)Schmerzen, Durchfall, Hautausschlag und Schwindel. Bei diesen handelt es sich nicht um alle Nebenwirkung von KALYDECO. Ein Liste der unerwünschten Reaktionen findet sich in der vollständigen Fachinformation für jedes Land, in dem KALYDECO zugelassen ist. Patienten sollten ihren Arzt über Nebenwirkungen, die Sie stören oder die nicht weggehen, informieren.

Die vollständige US-amerikanische Fachinformation zu KALYDECO finden Sie unter www.KALYDECO.com und die EU-Fachinformation zu KALYDECO unter <http://goo.gl/N3Tz4>.

Über die Mukoviszidose

Mukoviszidose ist eine seltene, lebensbedrohliche Erbkrankheit, von der in den Vereinigten Staaten ca. 30.000 Menschen und weltweit rund 70.000 Menschen betroffen sind. Die mittlere Lebenserwartung eines an Mukoviszidose leidenden Menschen liegt in den USA derzeit bei etwa 38 Jahren. Allerdings liegt das mediane Todesalter weiterhin bei Mitte 20.

Die Mukoviszidose wird durch defekte oder fehlende CFTR-Proteine verursacht, die auf Mutationen im *CFTR*-Gen zurückzuführen sind. Damit ein Kind an Mukoviszidose erkrankt, muss es zwei defekte *CFTR*-Gene — von jedem Elternteil eins — geerbt haben. Es sind mehr als 1.800 Mutationen im *CFTR*-Gen bekannt. Einige dieser Mutationen, die durch genetischen Test oder Genotypisierung festgestellt werden können, verursachen dadurch Mukoviszidose, dass funktionsunfähige oder zu wenige CFTR-Proteine an der Zelloberfläche generiert werden. Das Fehlen funktionstüchtiger CFTR-Proteine führt zu einem geringen Transport von Salz und Wasser in die Zellen hinein und aus diesen heraus. Betroffen sind davon mehrere Organe, darunter die Lunge.

Langjährige Kooperation mit Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics, Inc. (CFFT)

Vertex begann sein Forschungsprogramm über Mukoviszidose 1998 im Rahmen einer Zusammenarbeit mit CFFT, der gemeinnützigen Tochtergesellschaft der Cystic Fibrosis Foundation, die sich mit der Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln befasst. Diese Zusammenarbeit wurde ausgeweitet, um die Erforschung und Entwicklung der CFTR-Modulatoren von Vertex beschleunigt voranzutreiben.

Über die Cystic Fibrosis Foundation

Die Cystic Fibrosis Foundation ist weltweit führend, was die Forschung zur Heilung der Mukoviszidose angeht. Die Stiftung stellt mehr Mittel für die Erforschung der Mukoviszidose zur Verfügung als alle anderen Organisationen und fast jedes Medikament, das heute zur Behandlung von Mukoviszidose erhältlich ist, ist der Unterstützung der Stiftung zu verdanken. Die Stiftung hat ihren Sitz in Bethesda, Maryland, und unterstützt und akkreditiert ein nationales Gesundheitsnetzwerk, das von den nationalen Gesundheitseinrichtungen als vorbildlich für die Behandlung chronischer Erkrankungen angesehen wird. Die CF Foundation ist eine spendenfinanzierte gemeinnützige Organisation. Weitere Informationen finden Sie unter www.cff.org.

Über Vertex

Vertex schafft neue Möglichkeiten in der Medizin. Unser Team entdeckt, entwickelt und kommerzialisiert innovative Therapien, die Menschen mit schweren Krankheiten ein besseres Leben ermöglichen.

Die Wissenschaftler von Vertex und unsere Kooperationspartner arbeiten an neuen Arzneimitteln, um Hepatitis C, Mukoviszidose, rheumatoide Arthritis und andere lebensbedrohliche Krankheiten zu heilen oder zumindest erhebliche Behandlungsfortschritte zu erzielen.

Das Unternehmen wurde vor mehr als 20 Jahren in Cambridge im US-Bundesstaat Massachusetts

gegründet und unterhält nun laufende weltweite Forschungsprogramme und Niederlassungen in den USA, Großbritannien und Kanada. Derzeit beschäftigt Vertex mehr als 2.000 Mitarbeiter weltweit. In der Fachzeitschrift *Science* belegt Vertex nun seit drei Jahren in Folge den Spitzenplatz auf der Rangliste der besten Arbeitgeber im Bereich der Biowissenschaften.

VRTX – GEN

Die Ausgangssprache, in der der Originaltext veröffentlicht wird, ist die offizielle und autorisierte Version. Übersetzungen werden zur besseren Verständigung mitgeliefert. Nur die Sprachversion, die im Original veröffentlicht wurde, ist rechtsgültig. Gleichen Sie deshalb Übersetzungen mit der originalen Sprachversion der Veröffentlichung ab.

Contacts

Vertex Pharmaceuticals Incorporated

Medien:

Dawn Kalmar
Megan Goulart
617-444-6992

mediainfo@vrtx.com

oder

Investoren:

Michael Partridge, 617-444-6108
oder
Kelly Lewis, 617-444-7530

Source: Vertex Pharmaceuticals Incorporated

View this news release online at:

<http://www.businesswire.com/news/home/20120925000000/de>

