

PRESSEMITTEILUNG

Ipsen kündigt Rücknahme des Zulassungsantrags für Palovaroten an und bestätigt die Absicht einer Neueinreichung nach zusätzlichen Datenanalysen

Dies erfolgte im Anschluss an den laufenden Dialog mit der US-Zulassungsbehörde FDA bezüglich der im Mai 2021 eingeleiteten Prüfung des Zulassungsantrags für Palovaroten

München, Paris, August 2021 – Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) gab heute nach jüngsten Gesprächen mit der amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) die Rücknahme des Zulassungsantrags für Palovarotene bekannt. Dies erfolgte im Anschluss an den derzeit laufenden Dialog mit der FDA nach der Zulassung des NDA-Antrags zur vorrangigen Prüfung (Priority Review) am 28. Mai 2021. Im Rahmen der Prüfung und des laufenden Dialogs zwischen Ipsen und der FDA wurde festgestellt, dass zusätzliche Analysen und Auswertungen von Daten aus der Phase-III-Studie MOVE und dem FOP-Programm von Ipsen erforderlich sind, um den Prüfprozess voranzutreiben und abzuschließen. Man war sich bei Ipsen und der FDA einig, dass ein Abschluss dessen innerhalb des aktuellen NDA-Prüfzyklus nicht möglich wäre. Infolgedessen bestätigte Ipsen die Rücknahme des NDA-Antrags für Palovarotene. Nach den jüngsten Gesprächen mit der FDA plant Ipsen, den Antrag bei der FDA nach Abschluss der zusätzlichen Datenanalysen erneut einzureichen.

Dr. Howard Mayer, Executive Vice President und Leiter der Abteilung für Forschung und Entwicklung bei Ipsen, gab bekannt: „Durch unsere klinischen Programme für die beiden Prüfpräparate Palovarotene und IPN60130 von Ipsen engagieren wir uns weiterhin für die FOP-Community. Wir sind uns der Dringlichkeit des Ziels dieser Community bewusst, an FOP erkrankten Menschen auf der ganzen Welt eine dringend benötigte Behandlungsmöglichkeit zur Verfügung zu stellen. Da es leider keinen behördlichen Mechanismus gibt, um das laufende Prüfverfahren zu ‚unterbrechen‘, haben wir beschlossen, den Zulassungsantrag für Palovarotene zurückzuziehen, um die erforderlichen zusätzlichen Analysen und Bewertungen durchzuführen, und planen, die Daten für Palovarotene so bald wie möglich erneut einzureichen.“

Über das klinische Programm von Palovaroten zur Behandlung der FOP

Die Phase-III-Studie MOVE (NCT03312634) ist eine noch andauernde, offene, einarmige Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von Palovaroten im Rahmen einer Langzeittherapie bzw. bei der Behandlung von Flare-ups. Das untersuchte Dosierungsregime sieht eine tägliche Dosis von 5 mg vor, die bei Einsetzen eines Flare-ups für die Dauer von vier Wochen auf 20 mg erhöht wird, anschließend werden acht Wochen lang 10 mg verabreicht. Im Anschluss an das Zeitintervall mit erhöhter Dosis zur Behandlung des Flare-ups wird die Dosis wieder auf die Dauerdosierung von 5 mg täglich gesenkt. Bei skelettal nicht ausgereiften Teilnehmern (Patienten unter 18 Jahren, deren Anteil ausgereifter Knochen zum Zeitpunkt des Screenings nach röntgendiagnostischer Untersuchung der Hand und des Handgelenks bei <90 % liegt) erfolgt die Dosierung körpergewichtsadjustiert. Die Studie wird in Argentinien, Australien,

Brasilien, Frankreich, Großbritannien, Italien, Japan, Kanada, Spanien, Schweden und den USA durchgeführt.⁵ Es gibt zwei laufende Phase-II-Erweiterungsstudien (PVO-1A-202 [NCT02279095] und PVO-1A-204 [NCT02979769]): 1) Studie 202, eine Open-Label-Erweiterung von Studie 201, der ursprünglichen randomisierten, doppelblinden, multizentrischen Phase-II-Studie, und 2) Studie 204, eine Open-Label-Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit verschiedener Palovaroten-Dosierungsschemata bei Patienten mit FOP in Frankreich.

Über Palovaroten

Palovaroten ist ein in der Prüfung befindlicher oraler, selektiver Agonist des Retinsäurerezeptors Subtyp Gamma (RAR γ), der als potenzielle Therapie für Menschen entwickelt wird, die an der sehr seltenen, genetisch bedingten und stark invalidisierenden Erkrankung Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) leiden. Die Entwicklung von Palovaroten, das von der FDA als potenzielles Arzneimittel für Patienten mit FOP den Status einer vielversprechenden Therapie für eine seltene pädiatrische Erkrankung erhalten hat, ging nach der Übernahme von Clementia Pharmaceuticals im April 2019 auf Ipsen über.

Über die Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP)

Die Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) ist eine sehr seltene, genetisch bedingte Erkrankung, die eine Knochenneubildung außerhalb des Skelettsystems, d.h. in Muskeln, Sehnen oder anderen Weichteilen, verursacht.³ Die FOP tritt mit einer geschätzten Prävalenz von 1,36 Betroffenen pro eine Million Menschen auf; die Anzahl der bestätigten Fälle variiert allerdings je nach Land.^{1,2}

Über die Ipsen Pharma GmbH

Die Ipsen Pharma GmbH, Ländergesellschaft der Ipsen-Gruppe für Deutschland, Österreich und die Schweiz (DACH), vertritt in Deutschland seit über 40 Jahren verschiedene Präparate zur Therapie in den Bereichen Onkologie, Neurowissenschaften und Seltene Erkrankungen, für die ein hoher, nicht gedeckter medizinischer Bedarf besteht. Für die Ipsen Pharma GmbH waren 2020 rund 200 Mitarbeiter tätig. Die Firmenzentrale für die DACH-Region, der Münchener Sky Tower, ist einer der modernsten Arbeitsplätze Europas und bietet beste Rahmenbedingungen für die Entwicklung weiterer therapeutischer Innovationen. Mehr Informationen unter www.ipsen.com/germany.

Über die Ipsen-Gruppe

Ipsen ist ein global agierendes mittelständisches Biopharmaunternehmen mit Fokus auf der Entwicklung und dem Vertrieb medizinischer Lösungen in den Therapiebereichen Onkologie, Neurowissenschaften und Seltene Erkrankungen. Ipsen vertritt weltweit mehr als 20 Präparate in 115 Ländern bei direkter Handelspräsenz in mehr als 30 Ländern. 2020 erzielte die Unternehmensgruppe mit weltweit rund 5.700 Mitarbeitern einen Gesamtumsatz von 2,5 Mrd. Euro. Die Forschungs- und Entwicklungsstandorte von Ipsen befinden sich in Paris-Saclay (Frankreich), Oxford (Vereinigtes Königreich), Cambridge (Vereinigte Staaten von Amerika) und Shanghai (China). Ipsens Aktien werden in Paris gehandelt (Euronext: IPN) und in den USA über ein Sponsored Level I American Depositary Receipt Programm (ADR: IPSEY). Weitere Informationen unter www.ipsen.com.

Pressekontakt

PD Dr. Josefine Römmler-Zehrer
Medical Affairs Director DACH
Ipsen Pharma GmbH
Tel.: +49 174 4734769
E-Mail: josefine.roemmler-zehrer@ipsen.com

Stefanie Gerhardt
Director Communications DACH
Ipsen Pharma GmbH
Tel.: +49 172 8431474
E-Mail: Stefanie.gerhardt@ipsen.com

Literatur

- ¹ Liliestrom, M & Bogard, B 2016, 'The global known FOP population' , FOP Drug Development Forum, Boston, MA, 24-25 October.
- ² Baujat et al. Prevalence of fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) in France: an estimate based on a record linkage of two national databases. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2017; 12:123.
- ³ Kaplan FS, et al. The medical management of fibrodysplasia ossificans progressiva: current treatment considerations. Proc Intl Clin Council FOP 1:1-111, 2019.
- ⁴ Pignolo R, Al Mukaddam, M, Baujat, G, Berglund, S, Cheung, A, De Cunto, C, Delai, P, Di Rocco, M, Haga, N, Hsiao, E, Kannu, P, Keen, R, Mancilla, E, Grogan, D, Marino, R, Strahs, A & Kaplan, F 2020, 'Palovarotene (PVO) for fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP): data from the phase III MOVE trial' , ASBMR Virtual Meeting, 11-15 September.
- ⁵ ClinicalTrials.gov. An efficacy and safety study of palovarotene for the treatment of fibrodysplasia ossificans progressiva. (MOVE), clinicaltrials.gov, viewed March 2021, <<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03312634>>. ©2021 Ipsen Biopharmaceuticals, Inc. May 2021 NON-US-002389.

PAL-AT-000008