

Erste potenzielle Therapie zur Behandlung der seltenen Erkrankung Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) durch den Wirkstoff Palovaroten von Ipsen in der beschleunigten Zulassungsprüfung in den USA und in der Schweiz

- Die Food and Drug Administration (FDA) gewährte dem neuen Wirkstoff ein beschleunigtes Zulassungsverfahren mit bevorzugter Prüfung (Priority Review), eine Entscheidung wird für den 30. November 2021 erwartet
- Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) und Swissmedic haben den Antrag auf Marktzulassung (Marketing Authorization Application, MAA) für Palovaroten ebenfalls validiert, Swissmedic hat dem Antrag eine vorrangige Prüfung eingeräumt

München, Juni 2021 – Ipsen (Euronext: IPN; ADR: IPSEY) gibt bekannt, dass sich der neue Wirkstoff Palovaroten zur Behandlung der sehr seltenen Erkrankung FOP im Zulassungsprozess in den USA und in Europa befindet. Die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA hat den Zulassungsantrag angenommen und ihm sogar ein beschleunigtes Verfahren genehmigt. Bis Ende November soll die Entscheidung über die Zulassung im Rahmen eines Priority-Review-Verfahrens getroffen sein. Auch in Europa prüft die EMA den Antrag auf Marktzulassung. In der Schweiz hat die Behörde Swissmedic bereits grünes Licht für eine vorrangige Prüfung gegeben.

Palovaroten ist ein in der Prüfung befindlicher oraler, selektiver Agonist des Retinsäurerezeptors Subtyp Gamma (RAR γ) zur Vorbeugung einer heterotopen Ossifikation (Knochenneubildung) und stellt damit eine potenzielle Behandlungsoption für Menschen dar, die an der Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) leiden. FOP ist eine sehr seltene, genetisch bedingte Erkrankung, die mit einer fortschreitenden Invalidisierung einhergeht. Etwa 1,36 Personen pro eine Million Menschen sind davon betroffen, die Anzahl der bestätigten Fälle variiert jedoch je nach Land.^{1,2}

Die Erkrankung ist gekennzeichnet durch eine fortschreitende heterotope Ossifikation (HO), also eine Knochenneubildung außerhalb des Skelettsystems, z.B. in weichem Bindegewebe.³ Diesem Prozess können schmerzhafte Weichteilschwellungen, so genannte „Flare-ups“ vorausgehen.² Flare-up-Episoden sind häufig und können zur Ausbildung neuer heterotoper Ossifikationen beitragen, welche jedoch auch ohne einen Flare-up auftreten können. Eine einmal gebildete HO ist irreversibel und führt zu einem Verlust der Beweglichkeit und einer verkürzten Lebenserwartung.³

PD Dr. Josefine Römmler-Zehrer, Medizinische Direktorin bei Ipsen DACH, der Vertriebsorganisation der weltweit tätigen Ipsen Gruppe für Deutschland, Österreich und die Schweiz, erläutert: „Patienten mit FOP sind nach wie vor damit konfrontiert, dass es keine zugelassenen Therapien für diese fortschreitende und stark beeinträchtigende Erkrankung gibt. Der Bedarf, auf diesem Gebiet an Therapieoptionen für die Betroffenen zu forschen, ist sehr hoch. In diesem Jahr jährt sich die Entdeckung der Mutation im *ALK2/ACVR1*-Gen, die die FOP verursacht, zum 15. Mal. Der Zulassungsantrag für Palovaroten ist weltweit der erste für eine potenzielle Therapie dieser schweren seltenen Erkrankung. Unsere Teams bei Ipsen konzentrieren sich nun darauf, eng mit den Zulassungsbehörden zusammenzuarbeiten, um diese potenzielle Behandlungsoption für Patienten mit FOP verfügbar zu machen. Wir möchten uns bei allen Patienten mit FOP, ihren Familien, Betreuungspersonen und medizinischen Fachkräften bedanken, die an dem klinischen Entwicklungsprogramm für Palovaroten teilgenommen haben.“

Der Zulassungsantrag für Palovaroten basiert in erster Linie auf den Daten der laufenden MOVE-Studie, der ersten weltweiten multizentrischen Phase-III-Studie an Patienten mit FOP. MOVE ist eine offene, einarmige Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit von Palovaroten im Rahmen einer Langzeittherapie bzw. der Behandlung von Flare-ups. Primärer Wirksamkeitsendpunkt ist die Verringerung des annualisierten Volumens neuer HO bei Patienten mit FOP.⁴

„Die Annahme des Zulassungsantrags durch die FDA und die Prüfung des Antrags auch in Europa ist ein bedeutender Meilenstein für Ipsen und all diejenigen, die mit dieser unerbittlichen Krankheit FOP leben müssen. Wir hoffen, dass wir weiterhin Fortschritte erzielen und die Behandlung von Erkrankungen wie FOP vorantreiben können“, bekräftigt PD Dr. Josefine Römmler-Zehrer weiter.

Zusätzlich zu den Anträgen auf Marktzulassung, die bereits von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) und Swissmedic validiert worden sind, ist es vorgesehen, zu gegebener Zeit entsprechende Anträge bei weiteren Zulassungsbehörden 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 körperlsgewichtsadjustiert. 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), vertreibt 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 ipson.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 vertreibt 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 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 Lilljestrom, 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.