

Pressekontakt

Dr. Sebastian Schweinfurth
ipse Communication
Albrechtstraße 14 B
10437 Berlin
Telefon: +49 30 288 846 25
E-Mail: jazz@ipse.de



Pressemitteilung

Vyxeos® erhält die Marktzulassung für die Behandlung bestimmter Typen akuter myeloischer Hochrisiko-Leukämien in der Europäischen Union

München, 31. August 2018 – Jazz Pharmaceuticals plc (Nasdaq: JAZZ) hat bekanntgegeben, dass die Europäische Kommission Vyxeos® 44 mg/100 mg Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung zur Behandlung von Erwachsenen mit neu diagnostizierter, therapiebedingter akuter myeloischer Leukämie (t-AML) oder AML mit myelodysplastischen Veränderungen (AML-MRC) zugelassen hat. Vyxeos ist eine fortschrittliche liposomale Formulierung mit einem synergistischen molaren Verhältnis von Daunorubicin und Cytarabin.

„Vyxeos ist die erste Chemotherapie, die in einer Phase-3-Studie mit älteren erwachsenen Patienten mit neu diagnostizierter, therapiebedingter t-AML oder AML mit myelodysplastischen Veränderungen einen Gesamtüberlebensvorteil gegenüber dem Behandlungsstandard erzielte“, so Daniel Swisher, Präsident und Chief Operating Officer von Jazz Pharmaceuticals. „Jazz möchte Vyxeos für Patienten in der EU verfügbar machen und wir beginnen nun die schrittweise Markteinführung von Vyxeos in der Europäischen Union auf Länderbasis, während Entscheidungen über Preis und Erstattung getroffen werden.“

Die Genehmigung der Europäischen Kommission erstreckt sich auf alle Mitgliedsstaaten der Europäischen Union sowie Island, Norwegen und Liechtenstein.

„AML ist in Europa eine seltene Krebserkrankung. Bei Patienten mit therapiebedingter AML oder AML mit myelodysplastischen Veränderungen ist die Prognose im Vergleich zu anderen Formen von Leukämie am schlechtesten“, so Professor Charles Craddock, CBE, akademischer Leiter des Zentrums für klinische Hämatologie am Universitätskrankenhaus Birmingham des NHS Foundation Trust. „Vyxeos ist eine neue und klinisch bedeutsame Behandlungsoption, die Patienten und medizinischem Fachpersonal in der Europäischen Union einen willkommenen Vorteil bietet.“

Der Zulassungsantrag (MAA) für Vyxeos umfasst klinische Daten aus fünf Studien, darunter die zulassungsrelevante Phase-3-Studie. Daten aus der Phase-3-Studie wurden im Juli 2018 im Journal of Clinical Oncology veröffentlicht. In der Studie wurden die Wirksamkeit und Sicherheit von Vyxeos im Vergleich zu einer 7+3-Chemotherapie bei 309 Patienten im Alter von 60 bis 75 Jahren und mit neu diagnostizierter t-AML oder AML-MRC, einer rasch fortschreitenden und lebensbedrohlichen Malignität des Blutes, beurteilt.

Die Studie erreichte ihren primären Endpunkt, da Vyxeos gegenüber dem 7+3-Behandlungsregime eine überragende Verbesserung des Gesamtüberlebens zeigte. Das mediane Gesamtüberleben für die Vyxeos-Behandlungsgruppe betrug 9,56 Monate gegenüber 5,95 Monaten für die 7+3-Behandlungsgruppe (2-seitiger p-Wert = 0,005; HR [95%-Konfidenzintervall] = 0,69 [0,52, 0,90]). Vyxeos war zudem mit einer signifikant höheren Remissionsrate als 7+3 und einer Rate mit vollständigem Ansprechen von 37 % gegenüber 26 % assoziiert; p = 0,036. Weiterhin betrug die Gesamtrate von hämatopoetischen Stammzelltransplantationen (HSCT) 34 % im Vyxeos-Arm und 25 % im 7+3-Arm. Die berichteten Nebenwirkungen bei Vyxeos entsprachen im Allgemeinen dem bekannten Sicherheitsprofil der Therapie mit Cytarabin und Daunorubicin.

Die Inzidenz von nicht-hämatologischen unerwünschten Ereignissen war zwischen den Armen vergleichbar, trotz einer längeren Behandlungsphase und einer längeren Zeit bis zur Erholung der Neutrophilen- und Thrombozytenzahlen unter Vyxeos. Eine fatale behandlungsbedingte ZNS-Blutung, die nicht im Umfeld der progressiven Erkrankung eintrat, trat bei 2 % der Patienten im Vyxeos-Arm und 0,7 % der Patienten im Kontrollarm auf. 6 % der Patienten im Vyxeos- und Kontrollarm erlitten eine fatale Nebenwirkung bei der Behandlung oder innerhalb von 30 Tagen nach Therapiebeginn, die nicht im Umfeld der progressiven Erkrankung auftrat. Die häufigsten Nebenwirkungen (Inzidenz von ≥ 25 %) waren Blutungsereignisse, Fieber, Ausschlag, Schwellungen, Übelkeit, Geschwüre im Mund oder Hals, Diarrhö, Obstipation, Muskelschmerzen, Müdigkeit, Magenschmerzen, Atemprobleme, Kopfschmerzen, Husten, verminderter Appetit, unregelmäßiger Herzschlag, Pneumonie, Infektionen des Blutes, Frösteln, Schlafstörungen und Erbrechen.

Über Vyxeos®

Vyxeos 44 mg/100 mg Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung ist eine fortschrittliche liposomale Formulierung, die über einen verlängerten Zeitraum eine synergistische Kombination aus Daunorubicin und Cytarabin an Leukämiezellen abgibt. Basierend auf Daten aus Tierversuchen akkumulieren Vyxeos-Liposomen in hoher Konzentration im Knochenmark, persistieren dort und werden bevorzugt von Leukämiezellen intakt aufgenommen. Vyxeos ist das erste Produkt, das mithilfe der firmeneigenen CombiPlex®-Plattform entwickelt wurde, die es ermöglicht, verschiedene Therapiekombinationen zu entwickeln und zu evaluieren. Vyxeos erhielt im Januar 2012 den Orphan-Drug-Status (ODD) der Europäischen Kommission, wobei die Beibehaltung des ODD im Juli 2018 nach der Beurteilung durch den Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (COMP) und die U.S. Food and Drug Administration (FDA) im September 2008 zur Behandlung von AML bestätigt wurde. Vyxeos erhielt den Status „Promising Innovative Medicine“ (PIM) der Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency im Vereinigten Königreich. Der Ausschuss für Humanarzneimittel der Europäischen Arzneimittelagentur (CHMP) veröffentlichte im Juni 2018 eine positive Stellungnahme und empfahl die Marktzulassung von Vyxeos. Vyxeos erhielt im August 2017 die Zulassung der U.S. FDA und den exklusiven Status als Orphan Drug.

Über CombiPlex®

Mit der firmeneigenen CombiPlex-Technologie ist die Entwicklung und rasche Evaluierung verschiedener Therapiekombinationen für eine verbesserte Anti-Krebs-Aktivität möglich. Mit der CombiPlex-Technologie wird versucht, das Verhältnis von Wirkstoffen mit der höchsten Synergie in vitro zu ermitteln und dieses Verhältnis in einem Verabreichungskomplex auf Nanoebene zu fixieren, sodass die synergistische Kombination nach der Verabreichung erhalten bleibt. Bei CombiPlex kommen zwei firmeneigene Verabreichungsplattformen auf Nanoebene zum Einsatz: Liposomen kontrollieren die Freisetzung und Verteilung von wasserlöslichen sowie wasser- und fettlöslichen (amphipathischen) Wirkstoffen und Nanopartikel kontrollieren die Freisetzung und Verteilung von nicht wasserlöslichen (hydrophoben) Wirkstoffen.

Über AML

Die akute myeloische Leukämie (AML) ist ein Blutkrebs, der im Knochenmark beginnt, wo die meisten neuen Blutzellen des Organismus gebildet werden. Die AML-Zellen verdrängen gesunde Zellen und bewegen sich in den Blutkreislauf, um in andere Teile des Organismus vorzudringen.¹ Das Durchschnittsalter bei Diagnose beträgt 68 Jahre, wobei sich die Prognose mit zunehmendem Alter verschlechtert.^{2, 3} Mit dem Alter sinkt auch die Toleranz gegenüber einer hochdosierten Chemotherapie.⁴ Für Patienten mit t-AML oder AML-MRC gibt es nur wenige Therapieoptionen, und die Erkrankung zählt zu den Leukämieformen mit den niedrigsten Überlebensraten.^{5, 6} Die hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSCT) kann eine kurative Behandlungsoption für Patienten sein.⁷

Über Jazz Pharmaceuticals plc

Jazz Pharmaceuticals plc (Nasdaq: JAZZ) ist ein internationales biopharmazeutisches Unternehmen, das sich für die Verbesserung der Lebenssituation von Patienten einsetzt, indem es sinnvolle Lösungen für einen ungedeckten medizinischen Bedarf erkennt, entwickelt und vermarktet. Das Unternehmen verfügt über ein vielfältiges Portfolio an Produkten und Produktkandidaten mit Schwerpunkten in den Bereichen Schlaftherapie und Hämatologie/Onkologie. In diesen Bereichen vermarktet Jazz Pharmaceuticals Xyrem® (Natriumoxybat) orale Lösung, Erwinaze® (Asparaginase-Erwinia-chrysanthemi), Defitelio® (Defibrotid-Natrium) und Vyxeos® (Daunorubicin und Cytarabin) Liposom zur Injektion in den Vereinigten Staaten und Erwinaze®, Defitelio® (Defibrotid) und Vyxeos® 44 mg/100 mg Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung außerhalb der Vereinigten Staaten. Für länderspezifische Produktetikettierungen besuchen Sie bitte www.jazzpharmaceuticals.com/products. Weitere Informationen erhalten Sie unter www.jazzpharmaceuticals.com. Folgen Sie uns auf Twitter unter @JazzPharma.

„Safe Harbor“-Aussage entsprechend des Private Securities Litigation Reform Act von 1995

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsbezogene Aussagen, unter anderem Aussagen über die kommerzielle Verfügbarkeit und Einführung von Vyxeos in der Europäischen Union und andere Aussagen, bei denen es sich nicht um historische Fakten handelt. Diese zukunftsbezogenen Aussagen basieren auf den derzeitigen Plänen, Zielen, Schätzungen, Erwartungen und Vorhaben des Unternehmens und umfassen signifikante Risiken und Unsicherheiten. Die tatsächlichen Ergebnisse und Zeitpunkte von Ereignissen können aufgrund dieser Risiken und Unsicherheiten entscheidend von den Erwartungen in solchen zukunftsbezogenen Aussagen abweichen. Diese Risiken und Unsicherheiten umfassen unter anderem Risiken und Unsicherheiten im Zusammenhang mit: Den Möglichkeiten des

Unternehmens, Vyxeos effektiv in der Europäischen Union zu vermarkten, Verzögerungen oder Probleme bei der Bereitstellung oder Herstellung von Vyxeos, die Schaffung und den Erhalt einer angemessenen Preisgestaltung und Erstattung von Vyxeos, die Einhaltung geltender regulatorischer Anforderungen und andere Risiken und Unsicherheiten, die das Unternehmen betreffen, einschließlich derjenigen, die gelegentlich unter der Überschrift „Risikofaktoren“ und an anderen Stellen in den Akten und Berichten von Jazz Pharmaceuticals plc für die Börsenaufsichtsbehörde beschrieben werden (Akte bei der Aufsichtsbehörde Nr. 001-33500), einschließlich des quartalsmäßigen Berichts des Unternehmens auf Formular 10-Q für das Quartal mit Ende am 30. Juni 2018 und zukünftiger Akten und Berichte des Unternehmens. Weitere Risiken und Unsicherheiten, die dem Unternehmen zurzeit nicht bekannt sind, können zukunftsbezogene Aussagen ebenfalls beeinflussen und zu tatsächlichen Ergebnissen und Ereigniszeitpunkten führen, die entscheidend von den Erwartungen abweichen. Die in diesem Dokument enthaltenen zukunftsbezogenen Aussagen gelten nur ab dem Datum dieses Dokuments oder ab den Datumsangaben, die in den zukunftsbezogenen Aussagen enthalten sind, selbst wenn das Unternehmen sie später über seine Website oder auf andere Weise verfügbar macht. Das Unternehmen verpflichtet sich nicht, zukunftsbezogene Aussagen zu aktualisieren oder zu ergänzen, um tatsächliche Ergebnisse, neue Informationen, zukünftige Ereignisse, veränderte Erwartungen oder andere Umstände zu reflektieren, die nach dem Datum eintreten, an dem die zukunftsbezogenen Aussagen getätigt wurden.

Literatur:

1. National Cancer Institute. General Information About Adult Acute Myeloid Leukemia. <https://www.cancer.gov/types/leukemia/patient/adult-aml-treatment-pdq> (Zugriff: 23. Juli 2018).
2. SEER Stat Facts: AML. 2017.
3. Baer MR, et al., Leukemia, 2011 Mai; 25(5):10.1038/eu.2011.9.
4. Klepin HD. Hematology Am Soc Hematol Educ Program. 2014 (1):8-13.
5. Pinto AC, et al. Current Cancer Treatment - Novel Beyond Conventional Approaches. 2011; 693-714.
6. Smith SM, et al. Blood. 2003; 102(1):43-52.
7. Peccatori, J and Ciceri, F. Haematologica. 2010 Juni; 95(6): 857–859. doi: 10.3324/haematol.2010.023184.