

Jetzt neu: Tegsedi® (Inotersen) –
Das erste Antisense-Therapeutikum gegen Polyneuropathie bei hATTR
27. August 2018, München

Presseinformation

Neu: Tegsedi bei hATTR

Stark wirksam bei Krankheitsverlauf und Lebensqualität

Polyneuropathie- und Lebensqualitäts-Score zeigen signifikante Verbesserungen / Fertigspritze für die Injektion zu Hause / Sicherheit durch Labormonitoring

Mit Tegsedi® (Inotersen) steht jetzt die erste und einzige subkutane Fertigspritze¹ für die Behandlung der Polyneuropathie bei hATTR zur Verfügung. Bei der Vorstellung des neuen Medikaments anlässlich des ESC in München waren sich die Experten einig: Die signifikante, anhaltende Stabilisierung des Krankheitsverlaufs und das Plus an Lebensqualität² sind ein wesentlicher Fortschritt in der Therapie dieser seltenen und lebensbedrohlichen Krankheit. Die Anwendung zu Hause bedeutet gleichzeitig mehr Freiheit für den Alltag der Patienten. Das parallel entwickelte Sicherheitskonzept mit regelmäßigen Laborkontrollen zeigt ein überzeugendes Risikomanagement.¹

Die hereditäre Transthyretin-Amyloidose (hATTR) stellt Ärzte vieler Fachrichtungen vor große Herausforderungen: Die heterogene Symptomatik und die Seltenheit der Erkrankung führen häufig zu einer verspäteten Diagnose. Dabei ist Eile geboten, denn in der Regel überleben die Patienten nur 3 bis 15 Jahre nach dem ersten Auftreten der Symptome. Das neue Medikament stellt sich jedoch dem Krankheitsverlauf wirksam entgegen: Bei 47,1 Prozent der Patienten in der Zulassungsstudie verbesserte oder stabilisierte sich der neurologische Status nach 15 Monaten signifikant ($p=0,00000004$) gegenüber Placebo, und beim Lebensqualitäts-Score sogar um 54,8 Prozent ($p=0,0006$).²

Professor Arnt V. Kristen vom Amyloidosezentrum Heidelberg verwies auf das „diagnostische Chamäleon“ hATTR, das mit unterschiedlichen Mutations- und Subtypen auch gestandene Experten verschiedener Fachrichtungen, wie z. B. Kardiologen oder Neurologen, herausfordere. Doch gerade ihre Pathogenese mache die hATTR zu einem erfolgversprechenden



Anwendungsgebiet der Antisense-Technologie wie z.B. Inotersen. Antisense-Oligonukleotide greifen nicht unmittelbar in die DNA ein, sondern unterbinden die Prozessierung des Gens in ein Protein. Sie verhindern also die Bildung eines krankheitsauslösenden Proteins. „Auf dieses Weise kann Inotersen die vermehrte Bildung und Aggregation von Amyloidablagerungen in verschiedenen Geweben und Organen verhindern. Das erklärt die rasche und anhaltende Wirksamkeit, die wir auch in der Zulassungsstudie gesehen haben“, so Kristen.

Professor Wilhelm Schulte-Mattler, Universität Regensburg, machte auf die Krankheitslast, die mit der Polyneuropathie verbunden ist, aufmerksam. In diesem Zusammenhang sei die Zulassungsstudie NEURO-TTR besonders bedeutsam, da die primären Endpunkte (Krankheitsverlauf [mNIS+7] und Lebensqualität [Norfolk QoL-DN]) exakt diesen Nutzen von Inotersen für den Patienten belegt haben. Die hochsignifikanten Ergebnisse in beiden Größen (47,1 Prozent vs. Placebo beim mNIS+7, 54,8 Prozent vs. Placebo beim Norfolk QoL-DN) seien umso eindrucksvoller, da die Datenbasis mit 172 in die Studie eingeschlossenen Patienten besonders überzeugend sei. Vor diesem Hintergrund sei auch die Tatsache, dass Patienten im Polyneuropathie-Stadium 1 und 2 gleichermaßen profitierten, zu betrachten – dies zeige auch die Zulassung von Tegsedi® in beiden Krankheitsstadien.

1 SmPC Tegsedi® (Inotersen)

2 Benson MD et al. N Engl J Med. 2018 Jul 5;379(1):22-31. doi: 10.1056/NEJMoa1716793.



Akcea Kontakt für Medien und Investoren Deutschland, Österreich, Schweiz

Dr. Michael Jiresch

Geschäftsführer Deutschland, Österreich, Schweiz, CEE

+49-151-40 20 5300

mjiresch@akceatx.com

the.messengers Kontakt für Medien Deutschland, Österreich, Schweiz

Anke Westerhoff

Geschäftsführerin

+49-6172-2851020

anke.westerhoff@the-messengers.de