

Hemlibra (Emicizumab) von Roche für die prophylaktische Therapie von Menschen mit Hämophilie A zugelassen

- **Erstes Medikament, das behandelte Blutungen im Intra-Patienten-Vergleich zu vorheriger Faktor VIII-Prophylaxe signifikant reduziert⁵**
- **Einzigste Prophylaxe, die subkutan und in verschiedenen Applikationsintervallen (wöchentlich, alle zwei oder alle vier Wochen) verabreicht werden kann^{5,6}**
- **Wirksamkeit und Sicherheit wurden im Rahmen eines der größten klinischen Studienprogramme für Hämophilie A belegt^{2,3,5,6}**

Basel, 28. August 2019 - Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) gab heute bekannt, dass das Schweizerische Heilmittelinstitut (Swissmedic) die Zulassung für Hemlibra® für die prophylaktische Therapie bei Menschen mit schwerer Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Hemmkörper erteilt hat.

Hemlibra kann bei allen Altersgruppen angewendet werden.¹ In zwei der grössten klinischen Zulassungsstudien bei Hämophilie A ohne Faktor VIII-Hemmkörper konnte gezeigt werden, dass Hemlibra die Blutungen bei einmal wöchentlicher subkutaner Anwendung im Vergleich zur vorherigen Behandlung mit Faktor VIII Präparaten signifikant und klinisch relevant reduziert – sowohl bei Erwachsenen, Jugendlichen als auch bei Kindern.^{5,6} Die subkutane Therapie mit dem bispezifischen Antikörper Emicizumab (Hemlibra), ist bereits seit dem 6. November 2018 in der Schweiz für Patienten mit Hämophilie A und sogenannten Hemmkörpern gegen den Gerinnungsfaktor VIII (Faktor VIII Antikörper) zugelassen.

Hämophilie ist eine schwerwiegende, vererbte Blutgerinnungsstörung, die unkontrollierte und oft spontane Blutungen verursachen kann. Neben einem erhöhten Risiko durch äussere Verletzungen können bei Menschen mit Hämophilie A auch spontane innere Blutungen in Muskulatur und Gelenke auftreten, besonders oft in die Kniegelenke, Ellbogen und Knöchel. Die neue Therapie hat das Potential, diesen Blutungen vorzubeugen.²

„Das Vorbeugen von Blutungen ist für Menschen mit Hämophilie A eine besondere Herausforderung. Bisher benötigen sie typischerweise mehrmals pro Woche intravenöse Injektionen von Präparaten, was besonders für kleine Kinder und ihre Familien schwierig sein kann“, sagt Marios Ntinis, Direktor der Geschäftseinheit Neurosciences, Autoimmune & Rare Diseases von Roche Pharma Schweiz. „Im Intra-Patienten-Vergleich hat sich gezeigt, dass Hemlibra die Häufigkeit von Blutungen im Vergleich zu den derzeit verfügbaren Präparaten reduziert.“

Hämophilie A wird durch einen Mangel des Gerinnungsfaktors VIII verursacht, wodurch die Blutgerinnung gestört wird. In der Schweiz sind rund 600 Menschen betroffen. Die Behandlung mit Hemlibra unterscheidet sich grundlegend von der bisherigen Substitutionstherapie mit Faktor VIII-Präparaten. Aufgrund der langen Halbwertszeit ermöglicht Hemlibra verschiedene Applikationsintervalle (wöchentlich, alle zwei oder alle vier Wochen).^{5,6} Als monoklonaler, bispezifischer Antikörper ahmt Emicizumab (Hemlibra) die Funktion von

Gerinnungsfaktor VIII nach: Es bindet sowohl an aktivierten Gerinnungsfaktor IXa als auch an Gerinnungsfaktor X und stellt damit die Blutgerinnung weitgehend wieder her.⁴

Einfachere Handhabung bedeutet mehr Lebensqualität

Mit Hemlibra steht Menschen mit schwerer Hämophilie A ohne Hemmkörper eine neue Behandlungsoption zur Verfügung, die eine wirksamere Blutungskontrolle und leichtere Handhabung bietet. Neben der Reduktion von Blutungen ist ein weiterer Vorzug die einfache Anwendung: Der neue Wirkstoff wird subkutan ins Unterhautfettgewebe injiziert, beispielsweise in Oberschenkel oder Bauch. Davon profitieren besonders Kinder und Jugendliche, denn die bisherige intravenöse Therapie ist gerade für sie und ihre Eltern oft sehr belastend. Studienergebnisse mit Intra-Patienten-Vergleichen stützen die Fortschritte, die dank des neuen Therapieansatzes in der Behandlung von Hämophilie A gemacht werden können: Im Vergleich zu einer Bedarfstherapie reduzierte die wöchentliche prophylaktische Behandlung mit Hemlibra die Anzahl behandlungsbedürftiger Blutungen um 96 Prozent und um 97 Prozent bei der zweiwöchentlichen Behandlung. Auch die Zahl von Gelenkeinblutungen, die eine Behandlung erforderlich machten, konnten um 95 Prozent reduziert werden.⁵ Ähnlich gute Ergebnisse erzielte auch eine vierwöchentliche Therapie.⁶ Zuvor wurden für Patienten mit Hemmkörpern bereits ähnliche signifikante Rückgänge nachgewiesen.²

Weitere Informationen zu Hämophilie A erhalten Sie unter <https://www.roche.com/>.

Weitere nützliche Links: SHG (<https://shg.ch/de/startseite>), AskNow (www.asknow.ch), Fokus Mensch (<https://roche-fokus-mensch.ch/hp/haemophilie/>).

Die Studiendaten:

Swissmedic hat am 27. August 2019 Hemlibra für die prophylaktische Therapie von Menschen mit schwerer Hämophilie A (kongenitalem Faktor-VIII-Mangel, FVIII <1 %) ohne Faktor VIII-Hemmkörper zugelassen. Seit dem 6. November 2018 ist Hemlibra bereits zugelassen für Menschen mit Hämophilie A mit Faktor VIII-Hemmkörpern. Hemlibra kann bei allen Altersgruppen angewendet werden.

Zulassungsentscheidend waren die Ergebnisse der klinischen Studien HAVEN 3 und HAVEN 4. In der HAVEN 3 Studie hatten Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren mit Hämophilie A ohne Faktor VIII-Hemmkörper, wöchentlich bzw. zweiwöchentlich eine Hemlibra-Prophylaxe erhalten. Im Vergleich zu Patienten die keine Prophylaxe erhalten haben, war die auf ein Jahr bezogene Rate behandlungsbedürftiger Blutungen (annualized bleeding rate, ABR) bei der wöchentlichen Gabe signifikant um 96% (Rate Ratio [RR]=0,04; p<0,0001) bzw. bei der zweiwöchentlichen Gabe um 97% (RR= 0,03; p<0,0001) reduziert worden. Ein intraindividueller Vergleich zeigte den Vorteil von Hemlibra gegenüber der Faktor VIII-Standardprophylaxe: Nach Umstellung auf Hemlibra hatten Studienteilnehmer eine um 68% signifikant geringere ABR (RR= 0,32; p < 0,0001).⁵

Bei der einarmigen Phase III-Studie HAVEN 4 erzielte auch eine vierwöchentliche Hemlibra-Prophylaxe eine klinisch höchst bedeutsame Blutungskontrolle bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit Hämophilie A mit Faktor VIII-Hemmkörper (n=5) und ohne Faktor VIII-Hemmkörper (n=36). Bei 56% der Teilnehmer (95%-KI: 39,7-71,5) sind während des Beobachtungszeitraums keine Blutungen aufgetreten.⁶ Zu den häufigsten unerwünschten Ereignissen, die bei ≥ 10% der Teilnehmer in beiden Studien mit

Hemlibra auftraten, zählten Reaktionen an der Einstichstelle, Kopfschmerz und Arthralgie (Gelenkschmerzen).¹

Der bispezifische monoklonale Antikörper erwies sich sowohl in HAVEN 3 als auch in HAVEN 4 als gut verträglich. Die amerikanische Gesundheitsbehörde FDA hat Hemlibra bereits im Mai 2018 als Therapiedurchbruch zur Routine-Prophylaxe von Hämophilie A-Patienten ohne Hemmkörper gegen Gerinnungsfaktor FVIII eingestuft und am 4. Oktober die Zulassung erteilt. In der Europäischen Union ist Hemlibra seit Februar 2018 zur prophylaktischen Therapie bei Hämophilie A und Hemmkörper gegen Gerinnungsfaktor VIII zugelassen und seit März 2019 auch für Menschen mit schwerer Hämophilie A ohne Faktor VIII- Hemmkörper zugelassen.

Über Hemlibra (Emicizumab)

Hemlibra® ist ein bispezifischer monoklonaler Antikörper, der speziell entwickelt wurde, um die Gerinnungsfaktoren IXa und X zu binden. Er wurde entwickelt, um die Faktoren IXa und X zusammenzubringen, Proteine die zur Aktivierung der natürlichen Gerinnungskaskade und zur Wiederherstellung des Blutgerinnungsprozesses bei Menschen mit Hämophilie A erforderlich sind. Hemlibra ist eine prophylaktische (präventive) Behandlung, die durch Injektion einer gebrauchsfertigen Lösung unter die Haut (subkutan) einmal wöchentlich, alle zwei Wochen oder alle vier Wochen durchgeführt werden kann. Hemlibra wird auf Basis von Grundlagenforschung von Chugai in einer Kooperation zwischen Roche und Chugai erforscht.

Über Roche

Roche ist ein globales Unternehmen mit Vorreiterrolle in der Erforschung und Entwicklung von Medikamenten und Diagnostika und ist darauf fokussiert, Menschen durch wissenschaftlichen Fortschritt ein besseres, längeres Leben zu ermöglichen. Dank der Kombination von Pharma und Diagnostika unter einem Dach ist Roche führend in der personalisierten Medizin - einer Strategie mit dem Ziel, jeder Patientin und jedem Patienten die bestmögliche Behandlung zukommen zu lassen.

Roche ist das grösste Biotech-Unternehmen weltweit mit differenzierten Medikamenten für die Onkologie, Immunologie, Infektionskrankheiten, Augenheilkunde und Erkrankungen des Zentralnervensystems. Roche ist auch der bedeutendste Anbieter von In-vitro-Diagnostika und gewebebasierten Krebstests und ein Pionier im Diabetesmanagement.

Seit der Gründung im Jahr 1896 erforscht Roche bessere Wege, um Krankheiten zu verhindern, zu erkennen und zu behandeln und leistet einen nachhaltigen Beitrag zur gesellschaftlichen Entwicklung. Zum Ziel des Unternehmens gehört es, durch Kooperationen mit allen relevanten Partnern den Zugang von Patienten zu medizinischen Innovationen zu verbessern. Auf der Liste der unentbehrlichen Arzneimittel der Weltgesundheitsorganisation stehen heute mehr als 30 von Roche entwickelte Medikamente, darunter lebensrettende Antibiotika, Malariamittel und Krebsmedikamente. Ausgezeichnet wurde Roche zudem bereits das zehnte Jahr in Folge als das nachhaltigste Unternehmen innerhalb der Pharmabranche im Dow Jones Sustainability Index.

Die Roche-Gruppe mit Hauptsitz in Basel, Schweiz ist in über 100 Ländern tätig und beschäftigte 2018

weltweit rund 94,000 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter. Im Jahr 2018 investierte Roche CHF 11 Milliarden in Forschung und Entwicklung und erzielte einen Umsatz von CHF 56,8 Milliarden. Genentech in den USA gehört vollständig zur Roche-Gruppe. Roche ist Mehrheitsaktionär von Chugai Pharmaceutical, Japan. Weitere Informationen finden Sie unter www.roche.com.

Alle erwähnten Markennamen sind gesetzlich geschützt .

Referenzen

- [1] Hemlibra® (Emicizumab) Fachinformation, Stand der Information August 2019, www.swissmedinfo.ch
- [2] Oldenburg J et al Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with inhibitors. N Engl J Med. 2017 Aug 31;377(9):809-818.
- [3] Young G et al. Efficacy, Safety and Pharmacokinetics of Subcutaneous Administration of Emicizumab Prophylaxis in Pediatric Patients with Hemophilia A with Inhibitors. Blood 130 Suppl 1(2017): 85.
- [4] Sampei Z et al., PLoS One 2013; 8 (2): e57479
- [5] Mahlangu J, et al, Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors, N Engl J Med 2018; 379:811-822
- [6] Pipe S et al. Efficacy, safety, and pharmacokinetics of emicizumab prophylaxis given every 4 weeks in people with haemophilia A (HAVEN 4): a multicentre, open-label, non-randomised phase 3 study. Lancet Haematol 2019 Jun;6(6):e295-e305

Medienstelle Roche-Gruppe

Telefon: +41 61 688 8888 / e-mail: media.relations@roche.com

- Nicolas Dunant (Leiter)
- Patrick Barth
- Ulrike Engels-Lange
- Karsten Kleine
- Barbara von Schnurbein