

Pressemeldung

Zulassung von personalisierten Medikamenten zur Behandlung von Muskeldystrophie Duchenne (DMD) schneller und sicher gestalten

Ein Workshop mit Teilnehmern des Netzwerks TREAT-NMD, der EMEA und verschiedener Patientengruppen zum Thema Antisense Oligonukleotid Therapien bei Muskeldystrophie Duchenne (DMD) signalisiert eine gemeinsame Annäherung an Themen der personalisierten Medizin

Ende September 2009 traf sich in den Londoner Büros der EMEA, der „European Medicines Agency“, auf Einladung von TREAT-NMD eine Gruppe von 98 DMD-Experten, darunter Ärzte, die an klinischen Studien beteiligt sind, Patienten-/Elterngruppen und Pharmafirmen, die an Therapiemöglichkeiten für Muskeldystrophie Duchenne arbeiten. Ziel war es, gemeinsam mit den Repräsentanten der EMEA und internationalen Ärzte-, Patientenvereinigungen und Behördenvertretern¹, einen Dialog über regulatorische Themen zu beginnen, die die Antisense Oligonukleotid Therapien bei genetischen Erkrankungen wie DMD hinsichtlich der Personalisierung mit sich bringen.

Ergebnisse aus aktuellen präklinischen und klinischen Studien mit Antisense Oligonukleotiden (AOs) als Therapie für Jungen mit DMD legen nahe, dass dieser neuartige Therapieansatz für eine Mehrheit der Betroffenen eine therapeutische Option darstellen könnte. In naher Zukunft werden klinische Studien beginnen, die hoffentlich dazu führen, dass die ersten dieser Wirkstoffe, die entwickelt wurden, um Exon 51 des DMD Gens zu skippen, zugelassen werden. Obwohl mehr als 80% der Duchenne Jungen potentiell von „Exon-Skippping“ profitieren könnten, ist zum Skippen eines spezifischen Exons ein spezifisches AO notwendig, sodass für die Behandlung der unterschiedlichen Mutationen, die DMD hervorrufen können, eine große Zahl von AOs entwickelt werden muss, mithilfe derer man jeweils nur eine kleine Gruppe von Patienten behandeln kann. Hieraus ergibt sich ein personalisierter Therapieansatz, der bislang einmalig für genetische Erkrankungen ist. Es ist deshalb eine Sorge von Interessengruppen und Wissenschaftlern, dass die Realisierung dieses vielversprechenden Therapieansatzes bedroht ist, wenn für jedes einzelne AO alle üblichen Schritte der Produktentwicklung und Zulassung durch regulatorische Behörden notwendig ist, bis der Wirkstoff in der klinischen Praxis angewandt werden kann.

Das Treffen mit der EMEA war deshalb dazu gedacht, Schritte einzuleiten, die einen sicheren und effizienten Zulassungsprozess für diese Medikamente gewährleisten. Ausgiebige Vorbereitungen vor dem Treffen stellten sicher, dass Wissenschaftler und Interessengruppen mit einer Stimme gegenüber den Regulierungsbehörden sprechen konnten um die problematischen Bereiche zu identifizieren und um gleichzeitig die enge Zusammenarbeit mit der EMEA bei zukünftigen Entwicklungen zu suchen. Dies war das zweite Mal, dass TREAT-NMD ein strategisches Treffen mit Regulierungsbehörden einberief; dies wurde als einzigartiges Diskussionsforum anerkannt, von dem beide Seite profitieren können.

„Üblicherweise bewerben sich Pharmafirmen um Zulassungen jedes einzelnen Medikaments separat; es ist jedoch klar, dass für einige dieser neuen Therapien eine breite Diskussion notwendig wurde, um umfassende Strategien zu entwickeln und um herauszufinden, wie die Regulierungsbehörden die Bewerbung um Zulassung dieser extrem ähnlichen Wirkstoffe einschätzen“, sagt TREAT-NMD Partner und Workshop-Leiter Francesco Muntoni. „Wir sind sehr froh, dass die EMEA gewillt ist, mit der Duchenne Community zusammenzuarbeiten und sind zuversichtlich, dass wir nun durch eine offene und konstruktive Diskussion dieser Themen den Pfad hin zur Zulassung ebnen können ohne Abstriche bei Sicherheit oder Effizienz machen zu müssen.“ Die Experten der Regulierungsbehörden betonten den Erfolg des Workshops und Dr. Agnes Saint Raymond, Vorsitzende des EMEA-Sektors für Wissenschaftliche Beratung, Orphan Drugs und Pädiatrische Medizinprodukte, fügte hinzu „die EMEA und ihre Komitees begrüßen die Möglichkeit, den Dialog mit TREAT-NMD weiterzuführen als Teil des Austausches mit Patientenorganisationen und

¹ Zu den Repräsentanten der EMEA zählten die Vorsitzenden und Mitglieder der Komitees für *Human Medicinal Products* (CHMP), *Pediatrics* (PDCO), *Advanced Therapies* (CAT), *Orphan Drugs* (COMP), sowie Mitglieder der *Scientific Advice Working Party* (SAWP) und hochrangige Mitglieder der EMEA Geschäftsstelle. Außerdem nahmen Repräsentanten des *Standing Committee for European Doctors* (CPME) und Patientenorganisationen, wie das *European Genetic Alliances' Network* (EGAN) und die *International Alliance of Patients' Organizations* (IAPO), an diesem Workshop teil. Beiträge von Duchenne-Patientengruppen und Experten aus aller Welt stellten eine internationale Beteiligung an diesem Workshop sicher; auch ein Mitarbeiter der *US Food and Drug Administration* (FDA) war anwesend.

Fachleuten aus dem Gesundheitswesen. Dies sind vielversprechende Zeiten für Kinder und Erwachsene mit Duchenne und die Regulierungsbehörden bestärken die frühe Zusammenarbeit bei der Entwicklung neuer Wirkstoffe um die Erfolgchancen bei der Zulassung zu maximieren.“ Im Anschluss an das Treffen wies Pat Furlong, Gründungspräsidentin und Vorsitzende des *Parent Project Muscular Dystrophy*, darauf hin, dass dieses Treffen für das Gebiet einen Meilenstein darstellte. „Es war fantastisch. Als wir die Themse mit der Fähre überquerten, wurde mir klar, dass dies sehr symbolhaft war. Vielen Dank, dass ich Teil dieses historischen Treffens sein durfte.“

Ergebnisse des Treffens

Während des Workshops deuteten EMEA Repräsentanten an, dass sie gewillt seien, mithilfe der bestehenden Werkzeuge und Abläufe flexibel zu agieren. Außerdem seien sie darauf vorbereitet, sich mehr in detaillierte Diskussionen zur Entwicklung von Abläufen für die Zulassung von AOs zum Skippen anderer Exons einzubringen. Die Experten der Regulierungsbehörden betonten, dass sie gewillt seien, alternative Wege zu diskutieren, wenn es um sehr kleine Populationen geht. Außerdem wurde vermerkt, dass es möglicherweise nicht nötig sein werde, separate Studien für jedes einzelne Exon durchzuführen, obwohl jedes Exon einzeln zugelassen werden muss. Viele Daten könnten gemeinsam genutzt und/oder extrapoliert werden. Es wurde jedoch betont, dass die Regulierungsbehörden immer ausreichende Daten benötigen, um das Medizinprodukt zu evaluieren und auf ein Nutzen-Risiko-Gleichgewicht schließen zu können. Um sicherzustellen, dass adäquate Daten zur Zulassung eines Medizinprodukts gesammelt werden, empfehlen die Experten der Regulierungsbehörden, dass Sponsoren frühzeitig mit dem SAWP und der PDCO diskutieren und sich gemeinsam auf Studien einigen, bevor diese durchgeführt werden. Darüber hinaus existiere auch die Möglichkeit einer Schnellzulassung für bestimmte Medizinprodukte, insbesondere wenn bestimmte Bedingungen wie z.B. konkrete Lebensgefahr, der Eintritt des Todes oder eine erhebliche Gesundheitsverletzung vorliegen. Die EMEA bestärkte deshalb Experten, frühzeitig im Verlauf der Produktentwicklung mit ihnen Kontakt aufzunehmen und betonte, dass Zusammenarbeit der Schlüssel zum Erfolg sei, wobei sie die exzellente Harmonisierung innerhalb der Duchenne Community anerkannte.

Weitere Informationen unter: www.TREAT-NMD.eu. Ein Workshopbericht kann über das TREAT-NMD Coordination Office bezogen werden.

Über TREAT-NMD

TREAT-NMD ist ein Exzellenznetzwerk, das von der Universität Newcastle aus koordiniert wird und zum Ziel hat, die Zusammenarbeit auf dem Gebiet der Forschung für neuromuskuläre Erkrankungen zu erleichtern. Dazu soll die notwendige Infrastruktur aufgebaut werden, um sicherzustellen, dass vielversprechende neue Therapieansätze die Patienten so schnell wie möglich erreichen. Das Netzwerk bringt die Schlüsselfiguren auf dem neuromuskulären Gebiet zusammen und ist ein Partner für Biotech- und Pharmafirmen, die neue Therapiemöglichkeiten für neuromuskuläre Erkrankungen entwickeln. Die Infrastruktur, Service-Angebote und der Zugang zu einer beispiellosen Breite an Expertise können den Ablauf der Studien und Zulassungsverfahren unterstützen, vereinfachen und verbessern.

Zu den Service-Angeboten gehören definierte und rekrutierbare Patientenkohorten, auf die über das globale Patientenregister zugegriffen werden kann, erfahrene Studienzentren, die im Care and Trial Site Registry gelistet sind, Outcome Measures, die für neuromuskuläre Erkrankungen validiert wurden, regulatorische Beratung, GCP Training, Schulung von Studienärzten, Entwicklung von Behandlungsstandards und die Zusammenstellung eines Beratungsgremiums.

Mehr Informationen finden Sie hier: www.treat-nmd.eu

Über MD-NET

Der deutsche Partner von TREAT-NMD ist das Muskeldystrophie-Netzwerk (MD-NET). Das MD-NET ist ein vom Bundesministerium für Bildung und Forschung gefördertes nationales Netzwerk (2003-2011), um die Voraussetzungen für eine spezifische Diagnose, eine systematische Forschung, einen optimalen Informationstransfer und eine kompetente Patientenversorgung für Menschen mit Muskeldystrophie zu schaffen. MD-NET ist ein Zusammenschluss von Ärzten und Wissenschaftlern aus ganz Deutschland, deren spezielles Interesse der Erforschung von Muskeldystrophien gilt. Beteiligt daran sind so unterschiedliche Fachdisziplinen wie Humangenetik, Neurologie, Neuropädiatrie, Innere Medizin, Neuropathologie, Biochemie und Physiologie sowie Vertreter von Selbsthilfegruppen.

*Im Rahmen des MD-NET werden u.a. multizentrische Studien durchgeführt, deren **Koordinationszentrum sich in Freiburg (Prof. Dr. Rudolf Korinthenberg/Dr. Janbernd Kirschner)** befindet. Das MD-NET hilft hier bei der Patientenrekrutierung und dem Austausch von Forschungsergebnissen.*

*Die Netzwerkzentrale des **MD-NET** befindet sich am Friedrich-Baur-Institut, München. Die Koordinatoren sind PD Dr. med. Maggie Walter, Prof. Dr. med. Matthias Vorgerd und Dr. med. Janbernd Kirschner; das Projektmanagement liegt bei Dr. rer. biol. hum. Christine Scholz. Weitere Informationen finden Sie unter www.md-net.org*

Kontakt

Dr. Sarah Baumeister
Dr. Christine Scholz
Muskeldystrophie-Netzwerk MD-NET

www.md-net.org / www.treat-nmd.de
www.baur-institut.de

Friedrich-Baur-Institut
Neurologische Klinik und Poliklinik der Universität München
Ziemssenstr. 1a
80336 München
Deutschland
T: +49 89 5160 7400

Alle Empfehlungen/Hinweise auf mögliche Therapien/Diagnostik und sonstige Behandlungsmöglichkeiten für Ärzte und Patienten sind nach besten Wissen erstellt, bedürfen aber im konkreten Einzelfall immer der Rücksprache mit dem behandelnden Arzt. Das Muskeldystrophie-Netzwerk e.V. übernimmt daher keine Haftung für die hierzu gemachten Angaben.