

TREAT-NMD und Prosensa vereinbaren strategische Zusammenarbeit bei klinischer PRO-051-Studie

München 8. Oktober 2009 – Prosensa, ein niederländisches biopharmazeutisches Unternehmen spezialisiert auf RNA-modulierende Therapeutika, verkündet den erfolgreichen Abschluss einer Machbarkeitsstudie. Hierzu wurden die Daten aus der weltweiten TREAT-NMD-Datenbank für DMD und dem TREAT-NMD-„Care and Trial Sites“-Register herangezogen. In einem nächsten Schritt soll es nun darum gehen mittels klinischer Studien den Wirkstoff PRO-051 zu erproben.

Prosensa hat erst kürzlich die klinische Studienphase I/II mit PRO-051 abgeschlossen und plant Anfang nächsten Jahres die Fortsetzung der klinischen Studien in Phase-II/III. Es geht dabei um den Wirkstoff PRO-051, der gezielt zur Behandlung von Mutationen im Dystrophin-Gen eingesetzt werden soll. Bei ca. 13% aller Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne (DMD) liegen diese spezifischen Mutationen vor. Um in die nächste entscheidende Studienphase eintreten zu können, müssen nun all jene Patienten gefunden werden, die für ein Exon-skipping mit PRO-051 geeignet sind. TREAT-NMD stellt hierzu ihre globale Datenbank zur Verfügung, die präzise genetische und klinische Informationen von Patienten mit DMD enthält, inklusive Angaben zum Alter, Gehfähigkeit und Medikamentenkonsum. Mithilfe dieser Datenbank konnten bisher 300 Patienten mit DMD aus 21 Ländern identifiziert werden, die die Einschlusskriterien der anstehenden Studie erfüllen. Die Kontaktaufnahme zu den Patienten wird über insgesamt 50 Studienzentren, die sich an dieser Studie beteiligen werden, erfolgen. Von dort werden die entsprechenden Patienten angeschrieben und alle weiteren Informationen erhalten.

“Die Rekrutierung von Patienten für klinische Studien ist ein sehr teurer und zeitaufwändiger Prozess, vor allem bei Vorliegen seltener Erkrankungen, wie z.B. DMD“ kommentiert Dr. Giles Campion, CMO und VP R&D von Prosensa. *“Diese erfolgreiche Zusammenarbeit mit TREAT-NMD ist deshalb extrem wertvoll für uns, da sie eine Beschleunigung des Rekrutierungsprozesses ermöglicht und uns hoffentlich erlaubt, diese Therapie den Patienten schneller zukommen zu lassen.“*

“Wir freuen uns sehr, dass unsere globale Patientendatenbank Pharmaunternehmen wie Prosensa so nützliche Ergebnisse liefern kann“ sagt Professor Hanns Lochmüller, der für das TREAT-NMD-Patientenregister verantwortlich ist. *“Unser Ansatz ist einzigartig, da die Daten, die wir den Unternehmen liefern, sich nicht nur aus rein statistischen Informationen zusammensetzen. Es handelt sich um aktuelle Daten von realen Patienten, die über das Register zur Teilnahme an Studien eingeladen werden oder die wir direkt über eine Therapie informieren können, sobald diese erhältlich ist. Gleichzeitig bleibt der Datenschutz für jeden einzelnen Patienten gewahrt, da wir keine Informationen an Unternehmen herausgeben, die Rückschlüsse auf die Einzelperson ermöglichen. TREAT-NMD fungiert hierbei als zuverlässiger Vermittler. Wir haben dafür gesorgt, dass für alle unsere Register ein positives Ethikvotum vorliegt und dass sie den Datenschutzrichtlinien entsprechen.“*

Die Prosensa-Studie wird in enger Abstimmung mit TREAT-NMD geplant und durchgeführt. Sie stützt sich unter anderem auf die Daten, die über das deutsche "DMD-Patientenregister" (München) und die Studienzentren (Freiburg) erhoben wurden. Alle für Patienten und Familien relevanten Informationen zur klinischen Studie werden, sobald mit dem Studienbeginn zu rechnen ist, sowohl über die Patientenregister direkt an die betroffenen Familien, als auch über die betreuenden Ärzte in den Kliniken und Patientenorganisationen, an die Patienten weitergegeben. Die Frage, ob und welche Patienten an dieser Studie teilnehmen können, wird in den einzelnen Studienzentren getroffen. Über den therapeutischen Nutzen kann zum gegenwärtigen Zeitpunkt noch keine Aussage getroffen werden.

Allgemeine Informationen:

Über Prosensa

Prosensa ist ein sehr innovatives niederländisches biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entdeckung, Entwicklung und Kommerzialisierung von Nukleinsäure-basierten Therapeutika spezialisiert hat, die die Genexpression jener Krankheiten korrigieren, für die bislang kaum therapeutische Möglichkeiten existieren; hier insbesondere die neuromuskulären Erkrankungen. Die Forschungsanstrengungen von Prosensa konzentrieren sich darauf, eine Therapie für die Muskeldystrophie Duchenne zu entwickeln.

Mehr Informationen zu Prosensa finden Sie unter www.prosensa.eu.

Über TREAT-NMD

TREAT-NMD ist ein Exzellenznetzwerk, das die Zusammenarbeit auf dem Gebiet der Forschung für neuromuskuläre Erkrankungen erleichtern soll und zum Ziel hat, die Infrastruktur aufzubauen, die sicherstellt, dass vielversprechende neue Therapieansätze die Patienten so schnell wie möglich erreichen. Seit das Netzwerk im Januar 2007 die Arbeit aufgenommen hat, wurden Hilfsmittel eingerichtet, die Industrie und Wissenschaftler benötigen, um neue Therapien vom Labor in die Klinik zu übertragen. Eines der Schlüsselemente der TREAT-NMD Infrastruktur ist ein globales Patientenregister für DMD und SMA, das mehr als 30 nationale Patientenregister weltweit umfasst. Die DMD-Patientenregister enthalten über 9000 individuelle Patienteneinträge mit standardisierten Datenpunkten und Einverständniserklärungen und erleichtern und beschleunigen so die klinische Forschung und die Durchführung von Studien; gleichzeitig bieten sie Patienten die Möglichkeit, sich über diagnostische und therapeutische Standards zu informieren. Diese Register wurden in Zusammenarbeit mit Klinikern und Patientenorganisationen aus aller Welt aufgebaut. Sie enthalten Schlüsselinformationen, die benötigt werden, um beurteilen zu können, ob ein bestimmter Patient für eine Studie geeignet sein könnte; Sie bieten auch die Möglichkeit zur Kontaktaufnahme zu den jeweiligen Patienten. Register für andere Erkrankungen sind in Vorbereitung.

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

Muskeldystrophie Duchenne (DMD) und Exonskipping

Die Muskeldystrophie Duchenne ist eine neuromuskuläre Erkrankung des Kindesalters, die zu großer körperlicher Behinderung führt und 1 von 3500 neugeborenen Jungen betrifft. Die jungen Patienten leiden an einem fortschreitenden Verlust der Muskelkraft durch das Fehlen des Dystrophin-Proteins, was in vielen Fällen dazu führt, dass sie schon vor dem 12. Lebensjahr rollstuhlabhängig werden. Die meisten Patienten versterben im frühen Erwachsenenalter durch die respiratorische und kardiale Insuffizienz. Es gibt aktuell keine Behandlungsmöglichkeit, die diesen Krankheitsverlauf verhindert. Die Erkrankung wird durch unterschiedliche Mutationen im Dystrophin-Gen verursacht, die dazu führen, dass kein Dystrophin-Protein gebildet wird. Dieses wäre aber für eine stabile, d.h. gesunde Muskelfasermembran entscheidend.

RNA-basierte Therapeutika, insbesondere Antisense Oligonukleotide, die Exon-Skipping induzieren, zählen zur Zeit zu den vielversprechendsten Therapien für DMD. Antisense Oligonukleotide können ein spezifisches Exon „skippen“, d.h. entfernen und dadurch den Leserahmen des Transkripts wiederherstellen, um ein weitgehend funktionsfähiges Dystrophin-Protein synthetisieren zu können. Für unterschiedliche Mutationen in diesem Gen benötigt man unterschiedliche Oligonukleotid-Wirkstoffe. PRO-051, der erste Wirkstoff dieser Art, wird bei ungefähr 13% der DMD-Patienten anwendbar sein.

Kontakte:

Hans Schikan, CEO,
h.schikan@prosensa.nl
Luc Dochez, VP Business
Development,
l.dochez@prosensa.nl
Prosensa Therapeutics BV
Wassenaarseweg 72
2333 AL Leiden
The Netherlands
T: +31 71 3322100
www.prosensa.eu

Stephen Lynn, Network Manager
stephen.lynn@ncl.ac.uk
TREAT-NMD
Institute of Human Genetics
Newcastle University
International Centre for Life
Newcastle upon Tyne NE1 3BZ
United Kingdom
T: +44 191 241 8697
www.treat-nmd.eu

Dr. Christine Scholz
Dr. Sarah Baumeister
Muskeldystrophie-Netzwerk MD-NET
Friedrich-Baur-Institut
Neurologische Klinik und Poliklinik
der Universität München
Ziemssenstr. 1a
80336 München
Deutschland
T: +49 89 5160 7400
www.md-net.org
www.baur-institut.de