



Vertex Pharmaceuticals (CH) GmbH
Teil der Vertex Pharmaceuticals Incorporated
Baarerstrasse 88
6300 Zug

Behandlung der Cystischen Fibrose: Swissmedic erteilt Zulassung für TRIKAFTA® (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor) für Menschen ab 12 Jahren

- *Zum ersten Mal wird für rund 200 Patienten in der Schweiz ab 12 Jahren mit einer F508del-Mutation und einer Minimalfunktions-Mutation eine Behandlung mit CFTR Modulatoren zugelassen*
- *Auch rund 300 Patienten ab 12 Jahren mit zwei F508del-Mutationen kommen für eine Behandlung mit der neuen Dreifach-Kombinationstherapie infrage*
- *Die Zulassung bietet die Möglichkeit eines schnellen Patientenzugangs zur zukünftigen Dreifach-Kombinationstherapie (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor)*

Zug – 10. Dezember 2020 – Vertex Pharmaceuticals (Nasdaq: VRTX) gab heute bekannt, dass das Schweizerische Heilmittelinstitut Swissmedic die Marktzulassung für TRIKAFTA® (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor) zur Behandlung der Cystischen Fibrose (CF) bei Menschen ab 12 Jahren mit zwei *F508del*-Mutationen (F/F) oder einer *F508del*-Mutation und einer Minimalfunktions-Mutation (F/MF) im Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (*CFTR*)-Gen erteilt hat. Die Zulassung erfolgte im beschleunigten Verfahren (fast-track).

Zum ersten Mal können in der Schweiz rund 200 Menschen mit CF ab 12 Jahren, die eine *F508del*-Mutation und eine Minimalfunktions-Mutation aufweisen, mit einem CFTR-Modulator behandelt werden, der den der Erkrankung zugrundeliegenden Proteindefekt adressiert.¹ Die Zulassung der Dreifach-Kombinationstherapie erweitert zudem die Zahl der Behandlungsoptionen für Menschen mit CF ab 12 Jahren mit zwei Kopien der *F508del*-Mutation, der weltweit am weitesten verbreiteten CF-verursachenden Mutation. In der Schweiz kommen mit dieser Zulassung jetzt über die Hälfte der Menschen mit CF für die Behandlung mit einem CFTR-Modulator infrage.¹

„Vertex arbeitet nun mit Hochdruck mit den nationalen Gesundheitsbehörden zusammen, um die Kostenübernahme und den Zugang zur Dreifachkombination für alle infrage kommenden Patienten schnellstmöglich zu sichern“, so Reto Kessler, Country Manager von Vertex Pharmaceuticals in der Schweiz.

Die Marktzulassung erfolgte auf der Grundlage zweier internationaler Phase-3-Studien, die eine statistisch signifikante und klinisch bedeutsame Verbesserung der Lungenfunktion (primärer Endpunkt) sowie aller wichtigen sekundären Endpunkte bei CF-Patienten ab 12 Jahren mit zwei *F508del*-Mutationen oder einer *F508del*-Mutation und einer Minimalfunktions-Mutation im *CFTR*-Gen zeigten. Die Dreifach-Kombinationstherapie wurde in beiden Studien im Allgemeinen gut vertragen.^{2,3}

„Die klinischen Studiendaten zeigen eindruckliche Verbesserungen der relevanten Endpunkte, wie Lungenfunktion, Lebensqualität und Anzahl der Spitalaufenthalte, wie wir sie bisher noch nie gesehen haben. Dass diese Therapie am Grundproblem der Cystischen Fibrose, dem defekten Chlorid-Ionenkanal der Körperzellen ansetzt, sehen wir anhand der ausgeprägten Reduktion des Salzgehalts des Körperschweiss der behandelten Patienten. Ich freue mich sehr, dass wir nun diese Therapie unseren Patienten anbieten können“, sagt Prof. Dr. Alexander Möller, Professor und Leiter der Abteilung für Pneumologie und Cystische Fibrose am Universitäts-Kinderspital Zürich.

Über Cystische Fibrose

Cystische Fibrose (CF) ist eine seltene, lebensverkürzende, genetisch bedingte Krankheit, die weltweit rund 75'000 Menschen betrifft.⁴ Es handelt sich um eine fortschreitende Erkrankung, die verschiedene Organe wie Lunge, Leber, Verdauungstrakt, Nebenhöhlen, Schweißdrüsen, Bauchspeicheldrüse und Reproduktionsorgane betreffen kann.⁷ Ursache der CF ist ein defektes oder fehlendes CFTR-Protein als Folge bestimmter Mutationen im CFTR-Gen.⁸ Um an CF zu erkranken, muss ein Kind zwei defekte CFTR-Gene — jeweils eines von beiden Elternteilen — geerbt haben.⁹ Auch wenn es viele verschiedene Arten von CFTR-Mutationen gibt, die die Krankheit verursachen können, weist die grosse Mehrheit aller Menschen mit CF weltweit mindestens eine *F508del*-Mutation auf.¹⁰ Die CF auslösenden Mutationen können mittels eines Gentests oder einer Genotypisierung nachgewiesen werden. Sie haben zur Folge, dass zu wenig und/oder dysfunktionales CFTR-Protein an der Zelloberfläche vorhanden ist.^{8,9} CFTR-Kanäle regulieren das Ausströmen von Chlorid-Ionen und Wasser aus den Epithelzellen verschiedener Organe. Durch die gestörte oder fehlende CFTR-

Funktion werden Körpersekrete wie der Schleim in der Lunge dickflüssig und zäh und beeinträchtigen so die Funktionen lebenswichtiger Organe. In den Atemwegen kann der zähe Schleim chronische Lungeninfektionen und eine fortschreitende Schädigung der Lunge verursachen, die schliesslich zum Tod führen kann.^{8,9,11} In Europa liegt das mediane Sterbealter eines CF-Patienten bei 29 Jahren.⁶

Über TRIKAFTA®

TRIKAFTA® (elixacaftor/tezacaftor/ivacaftor) wurde zur Behandlung der Cystischen Fibrose (CF) bei Patienten ab 12 Jahren mit zwei F508del-Mutationen (F/F) oder einer F508del-Mutation und einer Minimalfunktions-Mutation (F/MF) im Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR)-Gen entwickelt, um die Menge funktionsfähigen F508del-CFTR-Proteins an der Zelloberfläche zu erhöhen. Der Schweizer Zulassungsantrag für TRIKAFTA® wurde gestützt durch positive Ergebnisse zweier internationaler Phase-3- Studien mit CF-Patienten ab 12 Jahren: einer 24-wöchigen Phase-3-Studie an 403 CF-Patienten mit einer F508del-Mutation und einer Minimalfunktions-Mutation (F/MF) sowie einer vierwöchigen Phase-3-Studie an 107 CF-Patienten mit zwei F508del- Mutationen (F/F).^{1,2}

Die vollständigen Angaben zum Arzneimittel sind in der Fachinformation enthalten, die unter www.swissmedicinfo.ch online zugänglich ist oder bei Vertex angefordert werden kann.

Über Vertex

Vertex ist ein globales Biotechnologieunternehmen, das in wissenschaftliche Innovationen investiert, um transformative Arzneimittel für Menschen mit schweren Krankheiten zu entwickeln. Das Unternehmen verfügt über mehrere zugelassene Medikamente zur Behandlung des zugrundeliegenden Proteindefekts der Cystischen Fibrose (CF), einer seltenen, lebensbedrohlichen, genetisch bedingten Erkrankung, und unterhält mehrere laufende klinische und Forschungsprogramme zur

Cystischen Fibrose. Über die Cystische Fibrose hinaus verfügt Vertex über eine solide

Pipeline von Wirkstoffkandidaten zur Behandlung anderer schwerer Krankheiten, bei

denen das Unternehmen ein tiefes Verständnis der kausalen Humanbiologie hat, einschliesslich Schmerz, Alpha-1-Antitrypsinmangel und APOL1-vermittelter Nierenerkrankungen. Darüber hinaus verfügt Vertex über eine schnell wachsende Pipeline von Gen- und Zelltherapien für Krankheiten wie Sichelzellanämie, β -Thalassämie, Muskeldystrophie Duchenne und Diabetes mellitus Typ 1.

Vertex wurde 1989 in Cambridge/Massachusetts gegründet, hat heute seinen globalen

Hauptsitz im Bostoner Innovation District, seinen internationalen Hauptsitz in London und eine regionale Zentrale für Mittel- und Osteuropa und Vertriebsmärkte in München. Darüber hinaus verfügt das Unternehmen über Forschungs- und Entwicklungsstandorte sowie Handelsniederlassungen in Nordamerika, Europa, Australien und Lateinamerika. Vertex wird immer wieder als einer der besten Arbeitgeber der Branche ausgezeichnet, darunter elf Jahre in Folge auf der Top-Arbeitgeberliste des Wissenschaftsmagazins Science und als bester Arbeitgeber für LGBTQ-Gleichberechtigung durch die Human Rights Campaign.

Notes to Editors

Die folgenden Informationen sind ausschliesslich für Medienschaffende bestimmt. Die Firma Vertex Pharmaceuticals weist an dieser Stelle ausdrücklich auf die werberechtlichen Bestimmungen der Heilmittelgesetzgebung hin (Art. 31 und 32 des Bundesgesetzes über Arzneimittel und Medizinprodukte [HMG; SR 812.21] sowie die Verordnung über die Arzneimittel-Werbung [AWV; SR 812.212.5]), insbesondere auf das Verbot der Publikumswerbung für verschreibungspflichtige Arzneimittel.

Pressekontakt

Vertex Pharmaceuticals (Germany) GmbH
Steffen Fritzsche
Director Corporate Communications Central and Eastern Europe & Distributor Markets
E-Mail: steffen_fritzsche@vrtx.com

furrerhugi. ag
Petra Wessalowski
Senior Consultant, Partnerin
Tel. +41 31 313 18 48
Handy: +41 79 694 89 34
E-Mail: Petra.Wessalowski@furrerhugi.ch

Referenzen

- 1 Geschätzter Wert; Berechnung von Vertex beruhend auf: European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, Annual Data Report 2018. Online verfügbar unter: https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report_2018_v1.4.pdf. Letzter Zugriff: November 2020.
- 2 Middleton PG, Mall MA, Drevinek P, et al. Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor for cystic fibrosis with a single Phe508del allele. N Engl J Med. 2019;381(19):1809-19.
- 3 Heijerman HGM, et al. Lancet. 2019;394(10212):1940-8.
- 4 Jabar A, Raissy H. H., Blake K. Pediatric allergy, immunology, and pulmonology 2014;27(2):92–4.
- 5 European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, Annual Data Report 2018. Online verfügbar unter: https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report_2018_v1.4.pdf Letzter Zugriff: November 2020
- 6 European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, Annual Data Report 2018. Online verfügbar unter: https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Report_2018_v1.4.pdf Letzter Zugriff: November 2020
- 7 Cystic Fibrosis Trust. How cystic fibrosis affects the body. Online verfügbar unter: <https://www.cysticfibrosis.org.uk/what-is-cystic-fibrosis/how-does-cystic-fibrosis-affect-the-body>. Letzter Zugriff: August 2020.
- 8 Cystic Fibrosis Foundation. Basics of The CFTR Protein. Online verfügbar unter: <https://www.cff.org/Research/Research-Into-the-Disease/Restore-CFTR-Function/Basics-of-the-CFTRProtein/>.
- 9 NHS choices. Cystic Fibrosis. Online verfügbar unter: <https://www.nhs.uk/conditions/cystic-fibrosis/>.
- 10 Cystic Fibrosis Foundation. Types of CFTR Mutations. Online verfügbar unter: <https://www.cff.org/What-is-CF/Genetics/Types-of-CFTR-Mutations/>. Letzter Zugriff: August 2020.
- 11 National Organization for Rare Disorders (NORD). Cystic Fibrosis. Online verfügbar unter: <https://rarediseases.org/rare-diseases/cystic-fibrosis>. Letzter Zugriff: August 2020.