

EspeRare Prüfpräparat Rimeporide erhält europäischen Orphan-Drug-Status für Duchenne-Muskeldystrophie

Genf (ots/PRNewswire) - Die Stiftung EspeRare gab heute bekannt, dass die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) einen Orphan-Drug-Status (Orphan Drug Designation / ODD) für Rimeporide - ihrem führenden Präparat für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) - zugelassen hat. DMD ist eine seltene, lebensbedrohliche Krankheit, von der Jungen bereits im frühen Kindesalter betroffen sind und die zu Muskelschwäche und Muskelschwund führt. Sie zählt zu der am häufigsten vorkommenden und schwersten Form der pädiatrischen Muskeldystrophien.

Rimeporide ist ein selektiver Natrium-Protonen-Austausch-NHE1-Hemmer, der ursprünglich von Merck Serono für die Behandlung von Herzinsuffizienz entwickelt wurde. Die bisherigen klinischen Studien haben gezeigt, dass Rimeporides Sicherheitsprofil klinisch akzeptabel für Erwachsene ist. Die Rechte an Rimeporide wurden 2013 an EspeRare abgetreten. Seitdem hat EspeRare erfolgreich zwei nichtklinische Studien am Children Medical Centre in Washington (USA) und an der Universität Genf (Schweiz) durchgeführt. Die Ergebnisse wurden letztes Jahr auf dem 13. Kongress für neuromuskuläre Krankheiten (ICNMD / International Congress on Neuromuscular Diseases) in Nizza (Frankreich) vorgestellt. "Rimeporides Potenzial, entzündliche Skelettmuskeln, Fibrose und Kardiomyopathie in einer breiten Patientenpopulation zu behandeln (unabhängig von ihrem Mutationsstatus), könnte es ideal zu einer Ergänzung von Behandlungen machen, die darauf abzielen, Dystrophin zu steigern oder zu ersetzen. Der Erhalt dieses ODD ist ein wichtiger Meilenstein für Rimeporide und unterstützt seine klinische Entwicklung", kommentierte Florence Porte-Thomé, EspeRares R&D Director. Dank dieser Entscheidung, die sich aufgrund einer positiven Empfehlung des "Committee for Orphan Medicinal Products" der EMA ergab, erhält ein Natrium-Protonen-Austausch-Hemmer erstmals den Orphan-Drug-Status für DMD in Europa, und der Wirkmechanismus wird somit als innovativer Behandlungsansatz für DMD positioniert.

Mithilfe robuster Sicherheits- und nichtklinischer Wirksamkeitsnachweise, die die klinische Entwicklung unterstützen, wird EspeRare im zweiten Halbjahr 2015 die erste klinische Studie bei Jungen mit DMD starten, um die Sicherheit, Verträglichkeit,

Pharmakokinetik und Pharmakodynamik dieses potenziellen Wirkstoffs bei diesen Patienten zu untersuchen. "Das nichtklinische Paket weist auf Rimeporides Potenzial hin, Duchenne-Muskeldystrophie von einer lebensbedrohlichen Krankheit in eine chronische Krankheit umzuwandeln", erklärt Professor Denis Duboc, Kardiologe am Cochin Krankenhaus in Paris.

Der Erhalt dieses Orphan-Drug-Status für Rimeporide ist ein Beweis dafür, dass ruhende therapeutische Wirkstoffe ein Potenzial für die Behandlung von Patienten haben können, die an seltenen Krankheiten leiden. Dieser Erfolg bestärkt die Stiftung EspeRare darin, weiter auf ihrem Modell aufzubauen, indem sie ihre Partnerschaften mit biopharmazeutischen Unternehmen erweitert und darauf hinarbeitet, ein robustes Portfolio mit Programmen für Patienten aufzubauen, die von diesen unbehandelten Krankheiten betroffen sind.

<http://www.ema.europa.eu> [http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/home/Home_Page.jsp&mid=]

<http://www.esperare.org>

Pressearbeit: Gwen Laporte, +41-22-794-4004 -
laporte.gwen@esperare.org

Digitale Pressemappe: <http://www.ots.at/pressemappe/PR116872/aom>

*** OTS-ORIGINALTEXT PRESSEAUSSENDUNG UNTER AUSSCHLIESSLICHER
INHALTLICHER VERANTWORTUNG DES AUSENDERS - WWW.OTS.AT ***

OTS0015 2015-05-04/09:03

040903 Mai 15

Link zur Aussendung:

http://www.ots.at/presseaussendung/OTS_20150504_OTS0015