

Neuigkeiten von der Pharming Group N.V.

Januar 2017

Seit Januar 2017 ist die Selbstverabreichung von RUCONEST®* u.a. durch Patienten/Familienangehörige zugelassen. Nach Absprache mit dem Arzt, verbunden mit einem entsprechenden Training in der intravenösen Selbstapplikation, können die Patienten RUCONEST® jetzt bei ersten Anzeichen einer HAE-Attacke zu Hause oder unterwegs selbst einsetzen.

Um die Behandlung für die HAE-Patienten so einfach wie möglich zu gestalten, hat Pharming RUCONEST® mit einem Anwendungsset entwickelt. Es ermöglicht eine leichte Zubereitung durch die Verwendung von auf einander abgestimmten Komponenten (siehe Bild)

* rekombinanter humaner C1 Inhibitor zur Behandlung von akuten Attacken des hereditären Angioödems bei Jugendlichen und Erwachsenen

Juli 2017

Die wöchentlich erscheinende, anerkannte allgemeine medizinische Zeitschrift „The Lancet“ hat Daten aus einer Phase II, doppelblinden, Placebo-kontrollierten, randomisierten klinischen Studie (NCT02247739) veröffentlicht. Darin wird die Wirksamkeit und Sicherheit von RUCONEST®(rekombinanter humaner C1 Inhibitor) für die Prävention von HAE Attacken evaluiert.

In dieser Studie mit 32 Patienten wurde gezeigt, dass verglichen zu Placebo RUCONEST® 50 IU/kg (max. 4200 IU) eine statistisch signifikante und klinisch relevante Reduktion der Anfallsfrequenz für sowohl zweimal wöchentliche als auch einmal wöchentliche Behandlungsschemata aufwies. RUCONEST® war allgemein sicher und gut verträglich.

Hauptautor und Co-Principal Investigator, Prof. Dr. med. Marc Riedl, Professor für Medizin und Klinischer Direktor am US HAEA Angioödem Center der Universität Kalifornien San Diego kommentierte: Patienten mit häufigen HAE Attacken, wie die Patienten, die sich für diese Studie anmeldeten, sind schwer beeinträchtigt und haben limitierte sichere und wirksame Möglichkeiten, diese Krankheit zu kontrollieren. Die Ergebnisse dieser positiven Studie heben die einzigartigen Attribute von rekombinatem C1INH hervor und unterstützen den potentiellen prophylaktischen Nutzen dieser Medikation.

Dr. Bruno Giannetti, MD, Chief Operations Officer der Pharming Group N.V., ergänzte: “Wir freuen uns, dass diese wichtigen Ergebnisse in einer führenden Fachzeitschrift publiziert worden sind. Wir möchten den Patienten und den an dieser Studie beteiligten Forschern danken und freuen uns darauf unsere Arbeit mit der HAE Gemeinschaft fortzusetzen, um Behandlungsoptionen dieser Erkrankung zu verbessern“.

Oktober 2017

Pharming Group N.V verkündet positive Ergebnisse der klinischen Studie „Anwendung von RUCONEST® (rekombinanter humaner C1 Inhibitor) zur Behandlung von Attacken des hereditären Angioödems bei Kindern“.

Die offene, einarmige klinische Phase II Studie wurde in Abstimmung mit der European Medicines Agency (EMA) als Teil des Paediatric Investigation Plan (PIP) entworfen, um die pharmakokinetischen Sicherheits- und Wirksamkeitsprofile von RUCONEST® in einer Dosierung von 50 IU/kg bei HAE Patienten im Alter von 2-13 Jahren zur Unterstützung einer pädiatrischen Indikation zur Behandlung von HAE Anfällen, zu bestimmen.

Insgesamt wurden 20 Kinder mit HAE, die 73 HAE Anfälle erlitten, mit einer Dosis von 50 IU/kg (bis zu einem Maximum von 4200 IU) behandelt. Die Studie berichtet von klinisch bedeutsamer Linderung der Symptome bemessen anhand der visuellen analogen Schmerzskala (VAS), die durch die Patienten (mit Hilfe Ihrer Eltern) ausgefüllt wurde. Der mediane Zeitraum bis zur Besserung lag bei 60 Minuten (95% Konfidenzintervall:60-63), der mediane Zeitraum zu minimalen Symptomen lag bei 122 Minuten (95% Konfidenzintervall:120 -126). Nur 3/73 (4%) der Anfälle wurden mit einer zweiten Dosis RUCONEST® behandelt.

RUCONEST® war in der Studie allgemein sicher und gut verträglich. Kein Patient trat aus der Studie aufgrund unerwünschter Ereignisse aus. Es wurden keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, hypersensitive Reaktionen oder neutralisierende Antikörper beobachtet.

Die detaillierten Wirksamkeits- und Sicherheitsergebnisse werden weitergehend analysiert und bei einer nächsten, großen medizinischen Fachtagung zur Präsentation eingereicht.

Prof. Bruno Giannetti, Pharming's Chief Operations Officer, kommentierte:

Die Resultate dieser klinischen Studie geben uns wichtige Informationen zu Sicherheit und Wirksamkeit der Anwendung von RUCONEST® bei Kindern und zeigen gute klinische Übereinstimmung mit Ergebnissen bei Jugendlichen und Erwachsenen mit HAE. Kinder mit HAE haben limitierte therapeutische Optionen und wir werden unverzüglich mit den Aufsichtsbehörden zusammen arbeiten, um die Behandlungsalternativen für diese Patienten zu erweitern.