

PRESSEMITTEILUNG

Erste und derzeit einzige pharmakologische Therapie für die Transthyretin-Amyloidose mit Kardiomyopathie (ATTR-CM)

Pfizer erhält Zulassung für Vyndaqel® (Tafamidis) 61 mg

Berlin, 18.02.2020. Vyndaqel® (Tafamidis) 61 mg hat von der Europäischen Kommission die Zulassung zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose mit Kardiomyopathie (ATTR-CM) erhalten. Tafamidis 61 mg ist damit die erste und derzeit einzige pharmakologische Therapie in Europa, die für die Behandlung der lebensbedrohlichen Erkrankung ATTR-CM bei erwachsenen Patienten sowohl mit der Wildtyp- als auch mit der hereditären Form indiziert ist. Tafamidis 61 mg wird voraussichtlich ab dem zweiten Quartal 2020 in Deutschland zur Verfügung stehen. Mit dieser Zulassungserweiterung ist Vyndaqel® (Tafamidis) das einzige Präparat in Europa, das zur Behandlung der neurologischen und der kardiologischen Manifestationsform der Transthyretin-Amyloidose (ATTR-PN und ATTR-CM) eingesetzt werden kann.

Die Marktzulassung durch die Europäische Kommission basiert auf den Daten der Phase 3-Studie ATTR-ACT (Transthyretin Amyloidosis Cardiomyopathy Clinical Trial) mit 441 Patienten über 30 Monate aus 48 Studienzentren in 13 Ländern. In dieser Studie führte die Behandlung mit Tafamidis im Vergleich zu Placebo zu einer Risikoreduktion der Gesamtmortalität und der kardiovaskulär-bedingten Hospitalisierungen um 30 bzw. 32 Prozent. Tafamidis war mit einer signifikanten Reduktion der Abnahme der Funktionsfähigkeit (gemessen durch den 6-Minuten-Gehtest) und der Lebensqualität (gemessen durch den Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire-Overall Summary (KCCQ-OS)-Score) verbunden. Diese Effekte waren bereits 6 Monate nach Studienbeginn nachweisbar. Die kombinierte, hierarchische Betrachtung der Endpunkte Gesamtmortalität und kardiovaskulär-bedingte Hospitalisierungen zeigte eine signifikante Überlegenheit von Tafamidis über einen Zeitraum von 30 Monaten hinweg ($p=0,0006$).

Die Verträglichkeit von Tafamidis war gut, das Sicherheitsprofil war mit Placebo vergleichbar.¹ ATTR-ACT ist die erste weltweite, doppelblinde, randomisierte, placebo-kontrollierte klinische Studie, die eine pharmakologische Therapie für diese Erkrankung untersucht hat.

„Patienten mit einer Transthyretin-Amyloidose haben meist einen langen Leidensweg hinter sich, da die Erkrankung oft erst spät erkannt wird und überdies mit einer schlechten Prognose assoziiert ist“, erklärte Dr. Tobias Lücke, Medical Lead Rare Disease bei Pfizer in Deutschland. „Mit Vyndaqel® 61 mg können wir diesen Patienten und behandelnden Kardiologen erstmals eine zielgerichtete pharmakologische Therapie anbieten.“

Über die Transthyretin-Amyloidose

Bei einer Transthyretin-Amyloidose kommt es zu einer Destabilisierung des Transthyretin (TTR)-Proteins und zur Bildung von fehlgefalteten TTR-Proteinen, die zur Entstehung von Amyloidfibrillen führen. Die Amyloid-Ablagerungen am Herzen führen zu einer restriktiven Kardiomyopathie und sind mit einer hohen Morbidität und Mortalität verbunden.² Es werden zwei Formen unterschieden: die altersbedingte ATTR-CM vom Wildtyp (wtATTR-CM) sowie die hereditäre ATTR-CM (hATTR-CM) mit autosomal-dominantem Erbgang. Tafamidis bindet das TTR-Protein spezifisch und stabilisiert es. Dadurch wird dem Zerfall des TTR-Proteins und der Ausbildung von Amyloidfibrillen entgegengewirkt. Bisher umfassten die einzigen verfügbaren Behandlungsoptionen dieser lebensbedrohlichen Erkrankung das Symptommanagement und in seltenen Fällen bei Patienten mit hereditärer ATTR-CM eine Herz- oder Lebertransplantation.³

In Europa zählt die ATTR-CM zu den Seltenen Erkrankungen. Eine Erkrankung gilt als selten, wenn weniger als 5 Patienten pro 10.000 Einwohner in der EU betroffen sind.³ Tafamidis besitzt einen Orphan Drug Status, der von der Europäischen Kommission vergeben wurde. Die exakte Prävalenz der ATTR-CM ist nicht bekannt, es wird jedoch zunehmend deutlich, dass die Erkrankung unterdiagnostiziert ist.

Über Vyndaqel®

Vyndaqel® (Tafamidis-Meglumin) 20 mg Weichkapseln sind seit 2011 in der EU für die Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1 (ATTR-PN) zugelassen, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern.⁴ Aufgrund der nun erfolgten Zulassungserweiterung kann mit Vyndaqel® sowohl die neurologische als auch die kardiologische Manifestationsform der Transthyretin-Amyloidose behandelt werden.

Pfizer – Breakthroughs that change patients' lives

Wenn Menschen krank werden, können sich viele Dinge für sie verändern – ein oft schwieriger Weg beginnt. Bei Pfizer arbeiten weltweit mehr als 10.000 ForscherInnen und insgesamt mehr als 90.000 MitarbeiterInnen daran, sie auf diesem Weg zu unterstützen. Sie entwickeln, produzieren und vertreiben innovative Medikamente und Impfstoffe, die das Leben von PatientInnen verlängern und verbessern.

Hauptsitz von Pfizer ist in New York. In Deutschland sind mehr als 2.500 MitarbeiterInnen an drei Standorten tätig: Berlin, Freiburg und Karlsruhe. Das Werk in Freiburg ist Vorreiter in Sachen Nachhaltigkeit und Industrie 4.0.

Mehr auf www.pfizer.de. Folgen Sie uns auf Twitter [@pfizer_de](https://twitter.com/pfizer_de).



Kontakt und weitere Informationen:

Pfizer Deutschland GmbH
Unternehmenskommunikation
Juliane Petzold
Linkstraße 10, D-10785 Berlin
Telefon: +49 (0)30 – 55 00 55 – 51088
E-Mail: presse@pfizer.com
Internet: www.pfizer.de
Twitter: www.twitter.com/pfizer_de
Youtube: www.pfizer.de/youtube

Agenturkontakt:

Medizin & PR GmbH – Gesundheitskommunikation
Heike Hallenberg
Eupener Straße 60, D-50933 Köln
Telefon: +49 (0)221 – 77543 – 12
E-Mail: heike.hallenberg@medizin-pr.de

Wenn Sie keine weiteren Pressemitteilungen von uns erhalten wollen, schreiben Sie uns bitte eine Nachricht an presse@pfizer.com.

Quellen

¹ Maurer MS et al. New Engl J Med 2018;379(11):1007–16

² Maurer MS et al. Circulation. 2017;135:1357–1377

³ Orphan Europe. Orphan drugs. <http://www.orphan-europe.com/about-us/orphan-drugs>. Accessed July 25, 2019

⁴ Fachinformation VYNDAQEL® 20mg, nach aktuellem Stand