

Erste und einzige Therapie für Menschen mit Morbus Hunter in der Schweiz

Swissmedic, das schweizerische Heilmittelinstitut, hat Idursulfase unter dem Namen Elapraxe im März die Marktzulassung in der Schweiz für die Langzeitbehandlung von Patienten mit Morbus Hunter (Mukopolysaccharidose MPS II) erteilt. Die Krankenkassen übernehmen ab 1. September die Kosten für die Therapie, das haben die Verhandlungen mit dem Bundesamt für Gesundheit ergeben.

Elapraxe wird von Shire Human Genetic Therapies hergestellt. In der Schweiz leben 5–10 Patienten vom Typ MPS II. Seit der Entdeckung der Krankheit vor 100 Jahren ist dies die erste und einzige Therapie für Morbus-Hunter-Patienten.

Montreux, August 2007 - atk -- Morbus Hunter ist eine äusserst seltene, progressive und lebensbedrohliche Erkrankung, die in erster Linie Männer betrifft. Die Symptome manifestieren sich ab dem 3. Lebensjahr. Die Lebenserwartung bei den schwereren Fällen beträgt maximal 20 Jahre [5]. Patienten mit Morbus Hunter weisen eine äusserst schlechte Langzeitprognose auf. «Die Zulassung von Elapraxe bedeutet für die Patienten einen Meilenstein. Erstmals seit der Entdeckung von Morbus Hunter gibt es eine Möglichkeit, Patienten zu behandeln und Symptome zu lindern», so Dr. Jean Marc Nuoffer, Spezialist für Stoffwechselerkrankungen am Inselspital in Bern.

Morbus-Hunter-Patienten leiden an einem Enzymmangel (Iduronat-2-Sulfatase). Dieser Enzymmangel beeinträchtigt die Fähigkeit des Organismus, komplexe Kohlenhydrate, die häufig in Sekreten sowie zelligem Bindegewebe vorkommen und als Glykosaminoglykan (GAG) bezeichnet werden, abzubauen und wiederzuverwerten. Das GAG sammelt sich in der Folge an, beschädigt das Körpergewebe und kann zu einer Reihe von gravierenden Symptomen führen, wie Hörverlust, verminderter Herzfunktion, Leber- und Milzvergrösserung sowie beeinträchtigter Bewegung und Mobilität infolge von Gelenksteife [1–4].

Die zugelassene Behandlung mit Elapraxe führt zu erhöhter Ausdauer, wie 6-minütige Gehtests bewiesen haben. Überdies zeigte die klinische Studie signifikante Verbesserungen bei Milz- und Lebergrösse sowie GAG-Konzentrationen im Harn [6, 7]. Elapraxe wird in Form von wöchentlichen Infusionen verabreicht und ersetzt das mangelhafte oder fehlende Enzym, das von Patienten mit dieser progressiven und zur Debität führenden Erkrankung nur in unzureichenden Mengen produziert wird [1].

«Wir sind über die Zulassung von Elapraseduralsin und die Mitteilung, dass die Krankenkassen die Therapiekosten übernehmen, hocherfreut. Dass die Möglichkeit der Enzymersatztherapie nun auch für Patienten mit MPS II in der Schweiz zur Verfügung steht, ist ein sehr wichtiges Signal und macht den Patienten und ihren Familien Mut für die Zukunft. Elapraseduralsin unterstützt die Patienten, ein annähernd normales Leben zu führen. Die Lebensqualität wird erhöht» so Alfred Wiesbauer, Präsident lysosuisse.

Die Marktzulassung für Elapraseduralsin durch Swissmedic folgt auf der vom europäischen Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP – Committee for Medicinal Products for Human Use) im Oktober 2006 veröffentlichten positiven Beurteilung. Die Daten, auf die sich die Zulassung stützt, bilden die grösste und längste Zulassungsstudie [6] für lysosomale Erkrankungen. Die Zulassung für Europa wurde im Januar 2007 erteilt. Das Bundesamt für Gesundheitswesen hat die Aufnahme von Elapraseduralsin in die Spezialitätenliste im August 2007 genehmigt, die Krankenkassen übernehmen damit die Kosten für die Therapie ab 1. September.

Die Mukopolysaccharidosen gehören in die Gruppe der lysosomalen Speichererkrankungen. Es werden bis heute sieben Haupt-Typen unterschieden. Mukopolysaccharidose Typ II (MPS II) wurde 1917 von Professor Hunter, einem schottischen Arzt, an der Medizinischen Fakultät in Kanada erstmals beschrieben.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Shire Human Genetic Therapies

Alain Coppex - acoppex@shire.com 021 966 55 20

lysosuisse –

Dr. Alfred Wiesbauer, Präsident - info@lysosuisse.ch 044 210 20 08

Hinweise für die Redaktionen

Über Idursulfase (Elaprase)

Idursulfase ist eine gereinigte Form des lysosomalen Enzyms Iduronat-2-Sulfatase und wird mittels rekombinanter DNS-Technologie in humanen Zelllinien produziert. Dosierung: Elaprase wird wöchentlich in einer Dosis von 0,5 mg/kg Körpergewicht durch intravenöse Infusion über einen Zeitraum von 3 Stunden gegeben.

Eigenschaften/Wirkungen: Iduronat-2-Sulfatase katabolisiert die Glykosaminoglykane (GAG) Dermatan-sulfat und Heparan-sulfat durch Abspaltung der Oligosaccharid-gebundenen Sulfat-anteile. Da das Enzym Iduronat-2-Sulfatase bei Patienten mit Hunter-Syndrom nicht oder nur in unzureichender Masse vorhanden ist, sammeln sich zunehmend Glykosaminoglykane in den Zellen an, was zu Zellschwellung, Organomegalie, Gewebszerstörung und Dysfunktion des Organsystems führt.

Über die Ergebnisse von HOS (Hunter Outcome Survey)

Im Rahmen einer langfristigen Ergebniserfassung des Unternehmens, der sogenannten Hunter Outcome Survey (HOS), verfolgt Shire aktiv Gesundheitsdaten von Personen mit Morbus Hunter. HOS dient der Sammlung, der Analyse, der Aufzeichnung sowie dem Austausch von weltweiten Daten zu Morbus Hunter. Shire ist überzeugt, dass die Einbeziehung aller von Morbus Hunter betroffenen Personen sowie Analyse und Veröffentlichung dieser Informationen ein weitergehendes Verständnis von Morbus Hunter sowie Aufklärungsarbeit über diese Krankheit auf globaler Ebene ermöglichen.

Über das Hunter-Syndrom

Laut Schätzungen von Shire leiden weltweit ca. 2.000 Patienten an Morbus Hunter. In der Schweiz sind ca. 5–10 Personen betroffen.

Shire Human Genetic Therapies

Für weitere Informationen über Shire besuchen Sie bitte die Website des Unternehmens unter www.shire.com.

lysosuisse

lysosuisse ist die schweizweit tätige Patientenorganisation für alle lysosomalen Speicherkrankheiten. Sie unterstützt Betroffene und Angehörige im Umgang mit der seltenen Krankheit und versteht sich als Informationsplattform und Netzwerk für Betroffene, Angehörige, Ärzte, Fachleute und bestehende Patientenorganisationen für lysosomale Speicherkrankheiten. Bei lysosuisse stehen die Betroffenen im Zentrum. Mit gezielten Aktivitäten wird ihre Lebensqualität erhöht.

Quellenangaben

- [1] Froissart R et al. Mucopolysaccharidosis type II – genotype/phenotype aspects. Acta Paediatr suppl. 2002;439:82–87
- [2] Kolodny EH et al. Storage diseases of the reticuloendothelial system. In: Nathan DG et al. Nathan and Oski's Hematology of Infancy and Childhood. 5th ed. Philadelphia, Pa: WB Saunders Co;1998:1461–1507
- [3] Vellodi A et al. Long-term follow-up following bone marrow transplantation for Hunter Disease. J Inher Metab Dis, 1999;22:638–648
- [4] Hunter syndrome. National Organization for Rare Diseases.
www.rarediseases.org. Januar 2006
- [5] Medline Plus. Hunter syndrome.
<http://www.nlm.nih.gov/medlineplus/ency/article/001203.htm>. Zugriff November 2006
- [6] Muenzer J. et al. A phase II/III clinical study of enzyme replacement therapy with idursulfase in mucopolysaccharidosis II (Hunter syndrome). Genet Med 2006 Aug;8(8):465–473
- [7] American Thoracic Society. ATS Statement: Guidelines for the Six-Minute Walk Test. Am J Respir Crit Care 2002;166:111–117
- [8] Swissmedic
www.swissmedic.ch/de/industrie/overall.asp?theme=0.00107.00003.00006&theme_id=913