

Neue Perspektive für Patienten mit Maroteaux-Lamy - Zulassung für Naglazyme in der Schweiz

Das amerikanische Pharmaunternehmen Biomarin hat für sein Enzymersatzpräparat „Naglazyme“ die Zulassung für die Schweiz erhalten; das Bundesamt für Gesundheit hat Naglazyme in die Spezialitätenliste aufgenommen. Dies bedeutet ein Meilenstein für die jungen Patientinnen und Patienten mit der sehr seltenen Stoffwechsel-Erbkrankheit „Maroteaux-Lamy“. Das Medikament ist ein weiterer Erfolg der EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Leiden.

Zürich, September 2007. Sh --- Das hochspezialisierte Enzymersatzmedikament Naglazyme bietet zum ersten Mal eine Therapiemöglichkeit für Kinder mit der seltenen Stoffwechselkrankheit Maroteaux-Lamy an. Während der wöchentlichen Infusion erhalten die Patienten das ihnen fehlende Enzym direkt ins Blut. «Damit können wir den Krankheitsverlauf verlangsamen, im besten Falle sogar stoppen», erklärt der Stoffwechselspezialist Dr. Baumgartner vom Kinderspital Zürich. Die Krankheit tritt schätzungsweise bei einer von 340 000 Geburten auf. In der Schweiz sind vier Patientinnen bekannt.

Naglazyme ist ein Medikament gegen die Stoffwechselkrankheit Maroteaux-Lamy. Den betroffenen Patientinnen und Patienten fehlt ein spezielles Enzym (Arylsulfatase B) zum Abbau von Zuckermolekülen in den Zellen. Diese Moleküle (so genannte Mukopolysaccharide) lagern sich in der Folge in verschiedenen Organen des Körpers ein und werden gespeichert. Die Arbeit der Zellen wird dadurch eingeschränkt, immer mehr Zellen verlieren ihre Funktion.

Die Krankheit kann sich in einer milden oder schweren Form manifestieren. Bei einem Neugeborenen fehlen oft die Anzeichen für die Krankheit. Je mehr Mukopolysaccharide eingelagert werden, desto ausgeprägter zeigt sich das Krankheitsbild. Nach wenigen Jahren sind die Symptome nicht mehr zu übersehen. Maroteaux-Lamy-Patienten weisen typischerweise vergrößerte Gesichtszüge auf. Sie leiden an immer wiederkehrenden Mittelohrentzündungen oder Nabel- und Leistenbrüchen und wachsen langsam. Eine späte Diagnose stellt ein signifikantes Risiko für die betroffenen Kinder dar¹. In

¹ Bonafé L., Ballhausen D., 2005: Das selektive Screening für metabolische Krankheiten in der pädiatrischen Praxis, in: Paediatrica, Vol. 16/ No. 5. Abteilung für Molekulare Pädiatrie, CHUV, Lausanne.
Postfach 2751 8021 Zürich Telefon 044 210 20 08 info@lysosuisse.ch www.lysosuisse.ch

ihrer schweren Ausprägung führt die Krankheit bald zu schwerer Invalidität und zum Tod im Kindes- oder Teenageralter. «Die Zulassung von Naglazyme und die Aufnahme in die Spezialitätenliste des BAG bedeutet für die Betroffenen und deren Familien ein sehr wichtiger Schritt. Die Therapie bedeutet, dass gegen die Krankheit etwas getan werden kann, denn bislang konnten Maroteaux-Lamy Patienten nur palliativ behandelt werden. Das ist ein Meilenstein für die Patienten und deren Familien», so Alfred Wiesbauer, Präsident der Patientenorganisation lysosuisse.

Die Mukopolysaccharidosen gehören in die Gruppe der (lysosomalen) Speichererkrankungen. Es werden sieben Typen von Mukopolysaccharidosen unterschieden. Der Mukopolysaccharidose-Typ VI (MPS VI) wurde 1963 von den beiden französischen Ärzten Maroteaux und Lamy erstmals beschrieben, weshalb die Erkrankung auch Morbus Maroteaux-Lamy genannt wird.

Für weitere Auskünfte:

lysosuisse

Patientenorganisation für lysosomale Speicherkrankheiten Schweiz

Dr. Alfred Wiesbauer, Präsident

Postfach 2751 □ 8021 Zürich

info@lysosuisse.ch - www.lysosuisse.ch

044 210 20 08

Matthias Baumgartner, Dr. med. Privatdozent

Kinderspital Zürich □

Universitäts-Kinderklinik □

Steinwiesstrasse 75 □

8032 Zürich

Disclaimer:

lysosuisse unterstützt die Betroffenen im Umgang mit ihrer seltenen und teilweise unheilbaren Krankheit. Als neutrale Patientenorganisation versteht sie sich als Informationsplattform und Netzwerk für Betroffene, Angehörige und Ärzte. □

„Orphan Diseases“/Waisenkrankheiten

Da die Zahl der Patienten unter 5 pro 10'000 Personen liegt, gehört Maroteaux-Lamy zu den sogenannten „orphan diseases“, den seltenen Leiden oder auch Waisenkrankheiten. Seit dem Jahre 2000 schafft die Europäische Kommission wirtschaftliche Anreize für Pharmaindustrien, sich der Erforschung, Entwicklung und Vermarktung seltener Krankheiten zuzuwenden. Anreize dafür sind beispielsweise ein 10-jähriges Marktexklusivitätsrecht, Unterstützung bei der Erstellung des Prüfplans, Zugang zum zentralisierten Verfahren für die Marktzulassung und anderes. Diese Unterstützung hat dazu geführt, was unter normalen Marktbedingungen nie möglich gewesen wäre: Zwischen April 2000 und April 2005 wurden über 450 Anträge auf Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden gestellt. Heute sind in Europa 37 Medikamente für seltene Leiden zugelassen.