

Kim Fox
Novartis Oncology
Tel +1 862 778 7692
Mobile +1 917 415 2425
kim.fox@novartis.com

John Gilardi
Novartis Global Media Relations
Tel +41 61 324 3018
Mobile +41 79 596 1408
John.Gilardi@group.novartis.com

MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG

Novartis beantragt für Exjade® die Zulassung zur Behandlung der chronischen Eisenüberladung infolge von Bluttransfusionen

- *Die innovative, einmal täglich oral einzunehmende Formulierung bietet der vielumfassenden Zahl der Patienten mit Eisenüberladung eine lebensverändernde Behandlungsmöglichkeit*
- *Die Zulassungsanträge stützen sich auf die Ergebnisse des umfangreichsten prospektiven Studienprogramms zur Therapie mit Eisenchelatbildnern*

Basel, Schweiz, 3. Mai 2005 – Novartis hat in den USA und der EU die Zulassung für Exjade® (Deferasirox) beantragt. Exjade ist der erste und einzige Eisenchelatbildner, der zur Behandlung von chronischer Eisenüberladung infolge von Bluttransfusionen einmal täglich oral zu verabreichen ist. Zulassungsanträge für weitere Länder werden in Kürze folgen.

Die Behörden der USA und der Schweiz gewährten Exjade, das als Prüfsubstanz auch unter dem Kürzel ICL670 bekannt ist, ein beschleunigtes Zulassungsverfahren (Fast-Track-Status). In den USA wurde eine vorrangige Prüfung (Priority Review) beantragt. Ausserdem erhielt Exjade in den USA, der EU und in Australien Orphan-Drug-Status.

Exjade ist ein neuartiger, einfach zu verabreichender Eisenchelatbildner, der nur einmal täglich eingenommen werden muss. Die Tabletten werden vor der Einnahme in einem Glas Wasser aufgelöst. Exjade wurde entwickelt, um die therapeutischen Vorteile von Eisenchelatbildnern einer grösseren Zahl von Patienten, die Bluttransfusionen erhalten, zugute kommen zu lassen sowie um den Bedürfnissen von Tausenden von Erwachsenen und Kindern gerecht zu werden, die bislang Desferal® (Deferoxamin) erhalten haben. Aufgrund der Unannehmlichkeiten und Schmerzen, die mit der täglichen Deferoxamin-Infusion verbunden sein können, waren die Patienten seit Jahren zunehmend entmutigt. Bei vielen Patienten können Transfusionen und eine Therapie mit Chelatbildnern lebenslang erforderlich sein.

„Um die Lebensqualität von Patienten mit dem Risiko einer Eisenüberladung zu verbessern, hat Novartis ein langfristiges Engagement bewiesen: erst durch die Entwicklung des hoch wirksamen Medikaments Deferoxamin, danach durch die Erforschung Hunderte neuer Wirksubstanzen, um eine einfache, oral einzunehmende Alternative für dieses Produkt zu finden,“ sagte Dr. Diane Young, Vizepräsidentin und Global Head of Clinical Development bei Novartis Oncology. „Wir verstehen die Bedürfnisse der Patienten und wissen, dass die belastende Verabreichung von Deferoxamin die Anwendung einschränkt. Um die Zulassung für diesen bedeutenden Behandlungsfortschritt zu beschleunigen und die Vorteile einer wirksamen Therapie mit Eisenchelatbildnern einer grösseren Zahl von Patienten zugute kommen zu lassen, werden wir mit den Gesundheitsbehörden konsequent zusammenarbeiten.“

Eisenüberladung ist eine lebensbedrohliche Erkrankung, die durch eine kumulative Toxizität gekennzeichnet ist. Die Erkrankung ist die Folge von Bluttransfusionen, die bei der Behandlung von gewissen Anämieformen und anderen Erkrankungen lebensnotwendig sind. Dazu gehören Thalassämie, Sichelzellenanämie, andere seltene Anämien und myelodysplastische Syndrome. Nicht erkannt oder unbehandelt kann Eisenüberladung Leber, Herz und endokrine Drüsen schädigen. Transfusionspatienten sind unter Umständen auf eine Senkung des Eisenüberschusses mittels einer medikamentösen Therapie mit so genannten Eisenchelatlignern angewiesen, um so die Eisenüberladung begleitend zu behandeln. Deferoxamin ist gegenwärtig Behandlungsstandard in der Eisenchelation. Solange der Patient Bluttransfusionen erhält, erfordert diese wirksame Therapieoption jedoch in der Regel subkutane Infusionen über einen Zeitraum von acht bis zwölf Stunden täglich an fünf bis sieben Tagen pro Woche.

„Die Infusionstherapie mit Desferal ist insbesondere bei Kindern problematisch, die eine Abneigung gegen Infusionsnadeln zeigen und Angst vor den damit verbundenen Schmerzen haben. Aber auch für ältere Jugendliche und junge Erwachsene ist die Therapie äusserst belastend. Obwohl ihnen die Risiken einer Eisenüberladung unmittelbar bekannt sind – zu denen Fehlbildungen, Organversagen und vorzeitiger Tod gehören – halten sie sich oft nicht an die Therapievorschriften“, sagte Dr. Durhane Wong-Rieger, Präsidentin und Chief Executive Officer des Anemia Institute for Research and Education. „Für viele Patienten stellen die Infusionen, die bis zu zwölf Stunden am Tag dauern, eine Stigmatisierung dar. Sie schränken die sozialen Aktivitäten stark ein und beeinträchtigen intime Beziehungen. Patienten und Pflegekräfte hegen grosse Hoffnungen im Hinblick auf einen einmal täglich oral einzunehmenden Chelatbildner, der ihnen die Weiterbehandlung der Eisenüberladung ermöglicht.“

Daten für die Zulassungsanträge

Das weltweite Programm klinischer Studien mit Exjade umfasste mehr als 1 000 Patienten. Es ist das grösste Prospektivstudienprogramm, das je mit einem in Entwicklung befindlichen Chelatbildner realisiert wurde. Die Zulassungsanträge stützen sich auf die Ergebnisse von entscheidenden klinischen Studien. Dazu gehört auch eine direkte Vergleichsstudie der Phase III mit Deferoxamin, in der für Exjade eine signifikante Reduktion der Eisenkonzentration in der Leber nachgewiesen wurde. Die Lebereisenkonzentration (liver iron concentration, LIC) ist ein anerkannter Indikator für den Eisengehalt des Körpers bei Erwachsenen und Kindern, die regelmässig Bluttransfusionen erhalten. Die Ergebnisse des klinischen Studienprogramms wurden im Dezember 2004 im Rahmen der Jahrestagung der American Society of Hematology präsentiert. Die Studien haben gezeigt, dass Exjade zu einer Stabilisierung oder Reduktion der absoluten Lebereisenkonzentration bei Patienten mit regelmässigen Bluttransfusionen und verschiedenen zugrunde liegenden Erkrankungen führt. Weitere Daten zu Exjade werden in diesem Monat an drei wichtigen Kongressen vorgestellt werden: an der Jahrestagung der American Society of Pediatric Hematology/Oncology in Washington, D.C. (14.-16. Mai 2005), am achten International Symposium on Myelodysplastic Syndromes in Nagasaki, Japan (12.-15. Mai 2005), am ersten Kongress der International BioIron Society in Prag, Tschechien (22.-27. Mai 2005); und im Juni am zehnten Kongress der European Hematology Association in Stockholm, Schweden (2.-5. Juni 2005).

In den klinischen Studien zeigte Exjade sowohl bei Erwachsenen als auch bereits bei Kindern im Alter von zwei Jahren im Allgemeinen eine gute Verträglichkeit. Die häufigsten Nebenwirkungen waren Übelkeit, Erbrechen, Durchfall, Bauchschmerzen, Hautausschlag und ein leichter, stabiler Anstieg der Serumkreatinin-Werte, gewöhnlich im Normbereich.

Orphan-Drug-Status und beschleunigtes Zulassungsverfahren

In der EU wurde der Zulassungsantrag für Exjade bei der Europäischen Agentur für die Beurteilung von Arzneimitteln im Rahmen des zentralen Zulassungsverfahrens eingereicht. In den USA und der EU erhielt Exjade 2002 Orphan-Drug-Status. Ziel der Orphan-Drug-Bestimmungen ist, die Erforschung, Entwicklung und Zulassung von Produkten für die Behandlung seltener Krankheiten zu fördern. In der EU bezieht sich der Ausdruck „Orphan Drug“ auf ein Medikament zur Behandlung einer schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankung mit einer Prävalenz von weniger als fünf Fällen pro 10 000 Einwohner. In den USA bezieht sich „Orphan Drug“ auf ein Medikament zur Behandlung einer Krankheit, von der weniger als 200 000 Menschen des Landes betroffen sind. Die Behörden der Schweiz und der USA gewährten Exjade zudem ein beschleunigtes Zulassungsverfahren (Fast-Track-Status). Ein beschleunigtes Zulassungsverfahren wird üblicherweise nur Medikamenten gewährt, die für die Behandlung von schweren oder lebensbedrohlichen Krankheiten vorgesehen sind und das Potenzial aufweisen, Patienten in Indikationen zu helfen, in denen es bisher keine oder nur sehr begrenzt wirksame Behandlungsmöglichkeiten gibt.

Zusatzinformationen

Exjade befindet sich weiterhin in der klinischen Entwicklung und ist noch nicht für die Vermarktung zugelassen. Einige Patienten weisen möglicherweise Voraussetzungen auf, um an laufenden klinischen Studien teilzunehmen. Weitere Informationen über die klinischen Studien mit Exjade sind für Patienten, medizinische Fachkräfte und Gesundheitsversorger telefonisch unter den folgenden Nummern erhältlich: 0800 328 9875 oder +44 (0) 1506 814895.

Diese Mitteilung enthält in die Zukunft gerichtete Aussagen, die bekannte und unbekannt Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren beinhalten, die zur Folge haben können, dass die tatsächlichen Ergebnisse wesentlich von den erwarteten Ergebnissen, Leistungen oder Errungenschaften abweichen, wie sie in den zukunftsbezogenen Aussagen enthalten oder impliziert sind. Einige der mit diesen Aussagen verbundenen Risiken sind in der englischsprachigen Version dieser Mitteilung und dem jüngsten Dokument „Form 20-F“ der Novartis AG, das bei der „US Securities and Exchange Commission“ hinterlegt wurde, zusammengefasst. Dem Leser wird empfohlen, diese Zusammenfassungen sorgfältig zu lesen.

Bezüglich der vollständigen Fachinformation von Desferal® (Deferoxamin) wenden Sie sich bitte an eine örtliche Niederlassung von Novartis.

Über Novartis

Die Novartis AG (NYSE: NVS) ist ein weltweit führendes Unternehmen in den Bereichen Pharmaceuticals und Consumer Health. Im Jahr 2004 erzielte der Konzern einen Umsatz von USD 28,2 Milliarden und einen Reingewinn auf Pro-forma-Basis von USD 5,6 Milliarden. Der Konzern investierte rund USD 4,2 Milliarden in Forschung und Entwicklung. Novartis hat ihren Sitz in Basel (Schweiz). Die Novartis Konzerngesellschaften beschäftigen rund 81 400 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter in über 140 Ländern. Weitere Informationen finden Sie im Internet unter <http://www.novartis.com>.

###

Kontakte

John Gilardi

Novartis Global Media Relations

Tel. +41 61 324 3018

Mobil +41 79 596 1408

John.Gilardi@group.novartis.com

Kim Fox

Novartis Oncology

Tel. +1 862 778 7692

Mobil +1 917 415 2425

kim.fox@novartis.com