

Lupin Limited: Orphan Drug NaMuscla® erhält Zulassung der Europäischen Kommission zur Behandlung von Myotonie bei nicht-dystrophischen myotonischen Störungen (E-Mail-Druckversion) - 08. Januar 2019

Orphan Drug NaMuscla® erhält Zulassung der Europäischen Kommission für die Behandlung von Myotonie in

Nicht-dystrophische myotonische Störungen

Zug, Schweiz, 8. Januar 2019: Lupin freut sich bekannt zu geben, dass die Europäische Kommission NaMuscla® (Mexiletin) für die symptomatische Behandlung von Myotonie bei Erwachsenen mit nicht-dystrophischen myotonischen (NDM) Störungen genehmigt hat. Nichtdystrophische myotonische Störungen sind eine Gruppe seltener, erblicher neuromuskulärer Störungen, die dazu führen, dass sich die Muskeln nach einer willkürlichen Kontraktion nicht entspannen können. NaMuscla® reduziert Myotonie-Symptome bei erwachsenen Patienten und führt zu einer deutlichen Verbesserung der Lebensqualität der Patienten und anderer funktioneller Ergebnisse^{1,5}.

Für die Vermarktung von NaMuscla® in europäischen Gebieten außerhalb Deutschlands und Großbritanniens hat Lupin derzeit Gespräche mit Partnern geführt.

Die EG-Zulassung folgt der positiven Stellungnahme, die vom Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP), dem wissenschaftlichen Ausschuss der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) im Oktober 2018 abgegeben wurde, und gilt für alle 28 Länder der Europäischen Union. Norwegen, Island und Liechtenstein. Die Zulassung macht NaMuscla®, das kürzlich vom EMA-Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (COMP) mit dem Orphan Drug-Status versehen wurde, zur ersten Behandlung, die in der gesamten EU für die symptomatische Behandlung von Myotonie bei Erwachsenen mit NDM-Störungen zugelassen ist.

Lupin bereitet sich auf die Markteinführung von NaMuscla® vor, die in den ersten Märkten Deutschlands und Großbritanniens im ersten Quartal 2019 auftreten wird.

"Wir freuen uns sehr über die Entscheidung der Europäischen Kommission, NaMuscla® zu genehmigen. Damit ist es die erste Behandlung, die EU-weit für Patienten mit nicht-dystrophischer Myotonie zugelassen ist", sagte Thierry Volle, Präsident von EMEA, Lupin. „Die EG-Zulassung ist ein weiterer wichtiger Meilenstein für Lupin, als wir ein führendes Pharmaunternehmen aufbauen, das sich auf die Entwicklung, Registrierung und Vermarktung wissenschaftsbasierter Therapien und Lösungen für Bereiche mit unerfülltem medizinischen Bedarf konzentriert. Wir sind jetzt näher dran, Patienten eine wirksame Behandlung von Myotonie-Symptomen anbieten zu können, und wir freuen uns darauf, das Produkt in den ersten Regionen im ersten Quartal 2019 auf den Markt zu bringen.“

Die Zulassung basierte auf einer zulassungsrelevanten klinischen Phase-III-Studie (MYOMEX1), an der 25 Teilnehmer teilnahmen, bei denen neben nicht-dystrophischen myotonischen Störungen und symptomatischer Myotonie zusätzlich zu den bibliographischen Angaben eine randomisierte, placebokontrollierte klinische Studie und eine Beobachtungsstudie durchgeführt wurden zur Unterstützung der Wirksamkeit und Sicherheit von Mexiletin.

Heutzutage haben mehr als 7500 Menschen in Europa^{2,3}, die mit NDM leben, nur eingeschränkten Zugang zu einer zugelassenen Behandlung von Myotonie, wodurch die tägliche Belastung durch dieses behindernde, lebenslange Symptom reduziert wird. Eingeschränkter Zugang führt zu einem inkonsistenten Medikamentenangebot, administrativen Herausforderungen und damit verbundenen finanziellen Belastungen, die zusammen mit geringem Bewusstsein und klinischer Erfahrung unter den Angehörigen der Gesundheitsberufe den Patienten schaden können⁴. Lupin verfolgt auch einen pädiatrischen Untersuchungsplan (PIP) für NaMuscla®.

"Die EU-Zulassung von NaMuscla® ist eine sehr gute Nachricht und ein wichtiger Schritt für NDM-Patienten in der EU, die mit symptomatischer Myotonie belastet sind", sagte Professor Christiane Schneider-Gold vom Krankenhaus St. Josef und St. Elisabeth / Neurologische Universitätsklinik (Bochum, Deutschland). „Die Zulassung und Vermarktung von NaMuscla beendet die schwierigen Off-Label-Behandlungsherausforderungen, denen diese Patienten gegenüberstehen. Da bis heute kein zugelassenes antimyotonisches Medikament zur Verfügung steht, haben viele Patienten ohne Behandlung gelebt. NaMuscla® erfüllt einen wichtigen, unerfüllten klinischen Bedarf für eine zugelassene, wirksame Behandlung mit einem positiven Risiko-Nutzen-Profil, das nachweislich die Lebensqualität und die Behinderung der Patienten durch die lebenslange Wirkung der Myotonie signifikant verbessert. "

Für weitere Informationen oder Fragen wenden Sie sich bitte an:

Consilium Strategische Kommunikation
Amber Fennell / Julia Wilson / Sukaina Virji / Angela Grey
Tel: +44 (0) 20 3709 5700
E-Mail: lupin@consilium-comms.com

Hinweise für Redakteure

Über myotone Störungen und nicht-dystrophische myotone (NDM) Störungen
Myotonische Störungen sind eine Gruppe heterogener, vererbter neuromuskulärer Störungen, die durch ein gemeinsames Symptom namens Myotonie gekennzeichnet sind. Myotonie kann als Unfähigkeit beschrieben werden, eine Kontraktion des Skelettmuskels zu lockern, die aus einer willkürlichen Muskelkontraktion resultiert, z. B. beim Händeschütteln und Blinzeln, oder bei alltäglichen Aktivitäten wie Gehen über eine Straße und Treppensteigen.

Nicht-dystrophische Myotonien (NDM) sind eine Untergruppe seltener (Prävalenz 1: 100,000²), vererbter, myotonischer Störungen, die durch Mutationen innerhalb von Ionenkanälen in der Sarkolemma-Membran der Skelettmuskulatur verursacht werden. Nichtdystrophische Myotonien weisen sowohl Natrium als auch Chlor auf

Quelle: Lupine Neurosciences Ltd