



Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD): Europäische Kommission erteilt Zulassung für innovatives Medikament zur Behandlung der seltenen Autoimmunkrankheiten

-- NMOSD sind schwere Autoimmunkrankheiten mit wiederkehrenden Schüben im Bereich des zentralen Nervensystems, die zur Erblindung, zu Lähmungen und sogar zum Tod führen können --

-- Der neuartige Wirkstoff Inebilizumab ist der erste und einzige in der EU zugelassene, der nachweislich gezielt Zellen bekämpft, die zum Fortschreiten der Erkrankung führen --

-- Für die Behandlung mit dem neuen Wirkstoff kommen etwa vier von fünf Betroffenen in Europa infrage. In einer klinischen Studie konnte Inebilizumab fast 90 % der Patienten mindestens ein halbes Jahr lang vor Schüben bewahren, die meisten sogar über vier Jahre oder länger --

DUBLIN – 2. Mai 2022 – Die Europäische Kommission hat ein Medikament mit dem Wirkstoff Inebilizumab für die Behandlung von Erwachsenen zugelassen, die an den seltenen Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD) leiden. Das gab Horizon Therapeutics plc, der Hersteller des Medikaments, heute bekannt. Das Medikament kann für die Behandlung von NMOSD-Patienten eingesetzt werden, in deren Blutserum das sogenannte AQP4-IgG, ein bestimmter Antikörper gegen den Eiweißstoff Aquaporin 4, nachweisbar ist. Das ist bei etwa vier von fünf Betroffenen mit NMOSD der Fall.

„NMOSD sind schwere Erkrankungen mit unvorhersehbaren Krankheitsschüben, die zunehmende und oft bleibende Schäden wie Erblindung oder Lähmungen verursachen können und für die Betroffenen eine tiefe Verunsicherung bedeuten“, sagte Vikram Karnani, Executive Vice President und President International von Horizon. „Die heutige Zulassung unseres Medikaments ist ein bedeutender Meilenstein für NMOSD-Patienten in Europa, denn damit steht vielen von ihnen eine neue, gezielte Behandlungsmöglichkeit zur Verfügung.“

Menschen, die von NMOSD betroffen sind, leben mit dem Risiko unvorhersehbarer Krankheitsschübe: 90 % erleiden innerhalb von fünf Jahren nach dem ersten Schub einen weiteren Schub.¹ Schon ein einziger NMOSD-Schub kann zu erheblichen, bleibenden Schäden führen und jeder nachfolgende Schub vergrößert den Schaden, der durch den vorherigen Schub verursacht wurde.² Ursache dieser Schäden ist eine Autoimmunreaktion auf die Ausschüttung von Antikörpern gegen den Eiweißstoff Aquaporin 4 durch bestimmte weiße Blutkörperchen. Diese sogenannten B-Zellen tragen den Marker CD19 auf ihrer Oberfläche und werden daher auch CD19+-B-Zellen genannt. Der Wirkstoff Inebilizumab verfolgt einen einzigartigen Wirkmechanismus zum Abbau der CD19+-B-Zellen, mit dem sich solche Schübe hinauszögern oder ganz verhindern lassen. Das ist von entscheidender Bedeutung, um diese Erkrankung erfolgreich zu behandeln und die fortschreitende Behinderung einzuschränken.^{3,4,5}

In der klinischen Studie mit Namen „N-MOmentum“, die zur Zulassung des Wirkstoffs führte, wurde Inebilizumab zweimal pro Jahr als Infusion verabreicht. Das verringerte wesentlich das Risiko der Teilnehmenden einen NMOSD-Schub zu erleiden: 89 % der Betroffenen mit dem Antikörper AQP4-IgG blieben nach der Behandlung für bis zu sechs Monate von Krankheitsschüben verschont, mehr als 83 % der behandelten Patienten sogar vier Jahre und länger.^{3,4}

„Wir haben große Fortschritte bei unserem Verständnis des Krankheitsbildes und der Entdeckung neuer Behandlungsansätze für NMOSD gemacht. Für Menschen in Europa, die mit den schwerwiegenden Auswirkungen dieser Krankheit leben, kann der neue Wirkstoff eine entscheidende Wende bedeuten“,

sagte Professor Dr. Friedemann Paul, vom NeuroCure Clinical Research Center an der Charité-Universitätsmedizin in Berlin. „Schon ein einziger Krankheitsschub kann lebensverändernde Auswirkungen, Schmerzen und Beeinträchtigungen bis hin zum Verlust des Sehvermögens verursachen. Es ist von größter Bedeutung, dass wir in der Lage sind, diese Krankheit frühzeitig zu diagnostizieren und zu behandeln, um die Betroffenen vor fortschreitenden Schäden und einer dauerhaften Behinderung zu bewahren.“

Weltweit sind etwa 0,5 bis 4 von 100.000 Menschen an NMOSD erkrankt,^{6,7} wobei Frauen neunmal häufiger betroffen sind als Männer.⁸ Die Folgen der Krankheit gehen über die medizinischen Aspekte hinaus und beeinträchtigen auch die Lebensqualität der Betroffenen – körperlich und psychisch.^{9,10} Jedes Jahr werden in Europa etwa 370 NMOSD-Patienten neu diagnostiziert.¹¹ Etwa 80 % der europaweit geschätzten mindestens 7.300 Betroffenen¹¹ weisen den Antikörper AQP4-IgG auf.¹²

Über die Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD)

NMOSD ist ein Sammelbegriff für die Neuromyelitis optica (NMO) und verwandte Syndrome. NMOSD sind seltene, schwere, durch wiederkehrende Schübe starker Nervenentzündungen gekennzeichnete Autoimmunerkrankungen. Bei etwa 80% aller Patienten mit NMOSD lassen sich im Blutserum Antikörper gegen den Eiweißstoff AQP4 nachweisen,¹² die eine eskalierende Immunreaktion auslösen.¹³ Klinisch äußert sich diese als NMOSD-Schub, der den Sehnerv, das Rückenmark und das Gehirn betreffen kann.^{13,14} Sehstörungen, Lähmungen, Gefühlsstörungen, Blasen- und Darmfunktionsstörungen, Nervenschmerzen und Atemstillstand können Symptome der Krankheit sein.¹⁰ Jeder weitere NMOSD-Schub kann zu weiteren Schäden und Behinderungen führen.^{15,16} NMOSD betreffen wesentlich häufiger Frauen als Männer und können bei Menschen afrikanischer und asiatischer Abstammung verbreiteter sein.^{8,17}

Über Horizon

Horizon konzentriert sich auf die Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Arzneimitteln, die auf die essenziellen Bedürfnisse von Menschen mit seltenen, autoimmunen und schweren entzündlichen Erkrankungen ausgerichtet sind. Wir glauben, dass Wissenschaft und Mitgefühl zusammenwirken müssen, um das Leben von Patienten wirklich zu verändern. Weitere Informationen darüber, welche Anstrengungen wir in diesem Sinn unternehmen, finden Sie unter www.horizontherapeutics.com. Folgen Sie uns auch gern auf [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#) und [Facebook](#).

Quellen:

1. Wingerchuk DM, Hogancamp WF, O'Brien PC et al. The clinical course of neuromyelitis optica (Devic's syndrome). *Neurology*. 1999;53(5):1107-1114. doi:10.1212/wnl.53.5.1107.
2. Jiwon O and Levy M. Neuromyelitis Optica: An Antibody-Mediated Disorder of the Central Nervous System. *Neurology Research International*. 2012;2012:460825.
3. Rensel M, Zabeti A, Mealy M et al. Long-term efficacy and safety of inebilizumab in neuromyelitis optica spectrum disorder: Analysis of aquaporin-4-immunoglobulin G-seropositive participants taking inebilizumab for ≥ 4 years in the N-MOMentum trial. *Multiple Sclerosis Journal*. 2021:135245852110472.
4. Cree BA, Bennett JL et al. Inebilizumab for the treatment of neuromyelitis optica spectrum disorder (N-Momentum): a double-blind, randomised placebo-controlled phase 2/3 trial. *The Lancet*. 2019;394:1352-63.
5. Contetti EC, Correale J. Neuromyelitis optica spectrum disorders: from pathophysiology to therapeutic strategies. *Journal of Neuroinflammation*. 2021;18:208.
6. Etemadifar M, et al. Epidemiology of neuromyelitis optica in the world: a systematic review and meta-analysis. *Mult Scler Int*. 2015;2015:174720.
7. Mori M, et al. Worldwide prevalence of neuromyelitis optica spectrum disorders. *Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry*. 2018;89:555-556.
8. Wingerchuk DM. Neuromyelitis optica: effect of gender. *J. Neurol Sci*. 2009;286(1-2):18-23
9. Kazuo Fujihara, et al, Patient-reported burden of symptoms in neuromyelitis optica: A secondary analysis on pain and quality of life, *Journal of the Neurological Sciences*, Volume 428, 2021, 117546, ISSN 0022-510X, <https://doi.org/10.1016/j.jns.2021.117546>
10. Beekman J, et al. Neuromyelitis optica spectrum disorder: Patient experience and quality of life. *Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm*. 2019;6(4):e580. Published 2019 Jun 20. doi:10.1212/NXI.0000000000000580
11. Data on file. Horizon, June 2021.
12. Illés Z. Treatment and new evidences in neuromyelitis optica spectrum disorder. *Ideggyogy Sz*. 2021;74(9-10):309-321.
13. Liu Y, et al. A tract-based diffusion study of cerebral white matter in neuromyelitis optica reveals widespread pathological alterations. *Mult Scler*. 2011;18(7):1013-1021.
14. Duan T, Smith AJ, Verkamn AS. Complement-independent bystander injury in AQP4-IgG seropositive cytotoxicity. *Acta Neuropathologica Comm*. 2019;7(112).
15. Kimbrough DJ, et al. Treatment of neuromyelitis optica: review recommendations. *Mult Scler Relat Disord*. 2012;1(4):180-187.
16. Baranello RJ, Avasarala JR. Neuromyelitis optica spectrum disorders with and without aquaporin 4 antibody: Characterization, differential diagnosis, and recent advances. *J Neuro Ther*. 2015;1(1):9-14.
17. Flanagan EP, et al. Epidemiology of aquaporin-4 autoimmunity and neuromyelitis optica spectrum. *Ann Neurol*. 2016;79(5):775-783.



Kontakt:

Tina Ventura

Senior Vice President, Chief Investor Relations Officer
Investor-relations@horizontherapeutics.com

Erin Linnihan

Executive Director, Investor Relations
Investor-relations@horizontherapeutics.com

Agenturkontakt Deutschland:

Franziska Schmidt

Account Manager fischerAppelt, relations GmbH
Franziska.schmidt@fischerappelt.de

C-HZN-DE-00041