



Zur Behandlung der homozygoten familiären Hypercholesterinämie (HoFH): Ultragenyx führt Evkeeza® (Evinacumab) in Deutschland ein

Evkeeza® ist das erste von der U.S. Food and Drug Administration (FDA) und der Europäischen Kommission (EC) zugelassene Medikament einer neuen Klasse zur Behandlung einer seltenen erblichen Form erhöhten Cholesterins

BERLIN, 1. September 2023 — Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE), ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung neuer Therapien für seltene genetische Erkrankungen spezialisiert hat, gibt die Einführung von Evkeeza® (Wirkstoff: Evinacumab) in Deutschland bekannt. Evkeeza® wurde im Juni 2021 von der Europäischen Kommission zugelassen als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Lipoprotein-Cholesterins niedriger Dichte (low-density lipoprotein-cholesterol, LDL-C) zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH). Ab dem 1. September 2023 ist Evkeeza® in Deutschland verfügbar und voll erstattungsfähig. Als erster zugelassener monoklonaler Antikörper zur Inhibition des Angiopietin-Like-3 Proteins (ANGPTL3) hat Evkeeza® einen völlig neuen Wirkansatz. Evkeeza® wird als intravenöse Infusion über die Dauer von 60 Minuten alle 4 Wochen verabreicht. Diese Therapie steht jetzt in Deutschland zur Verfügung.

“Die Neueinführung von Evkeeza® zur Behandlung der homozygoten familiären Hypercholesterinämie in Deutschland ist das neueste Beispiel unseres Commitments, neue Behandlungsoptionen für Betroffene mit seltenen genetischen Erkrankungen zu entwickeln“, so Jane Cooper, Senior Vice President und Regional Head für Europa, den Mittleren Osten und Afrika bei Ultragenyx. „Wir sind stolz darauf, diese Behandlung in Deutschland anbieten zu können und werden mit Ärzten und Kostenträgern dafür arbeiten, bedürftigen Patienten den Zugang zu dieser potentiell lebensverändernden Therapie zu ermöglichen.“

ANGPTL3-Inhibitoren werden bereits in der neuesten Konsensus-Publikation der Europäischen Atherosklerose-Gesellschaft (European Atherosclerosis Society, EAS) zur Behandlung von HoFH-Patienten empfohlen, die mit Statinen, Ezetimib und PCSK9-Inhibitoren nicht die empfohlenen LDL-Zielwerte erreichen.

“Patienten mit HoFH sprechen meist nicht gut auf herkömmliche Therapien zur Senkung des LDL-Cholesterins an und sind dadurch nach wie vor einem extrem hohen kardiovaskulären Risiko ausgesetzt“, erläuterte Prof. Dr. Gerald Klose, Lipidologe und Gastroenterologe aus Bremen und Mitglied des wissenschaftlichen Beirats der Lipid-Liga. „In Kombination mit Diät und anderen LDL-Cholesterin-senkenden Therapien stellt Evinacumab eine potente Behandlungsoption für diese seltene Erkrankung dar und ermöglicht eine effektivere Kontrolle von LDL-Cholesterin und Triglyzeriden bei Patienten mit HoFH.“

Über die homozygote familiäre Hypercholesterinämie (HoFH)

HoFH, auch als homozygote FH bezeichnet, ist die schwerste Form erblicher Hypercholesterinämie. Diese sehr seltene Erkrankung betrifft weltweit einen von 160.000 bis 300.000 Menschen. HoFH tritt auf, wenn zwei Kopien eines Gens, das familiäre Hypercholesterinämie (FH) verursacht, ererbt werden, eines von jedem Elternteil. Dies führt zu einer gefährlich hohen Konzentration (>400 mg/dl) an LDL-C, dem „schlechten“ Cholesterin. Betroffene mit HoFH sind einem hohen Risiko für vorzeitige Atherosklerose und kardiale Ereignisse schon im Kindesalter ausgesetzt und haben eine erhöhte kardiovaskuläre Mortalität.

Über Evkeeza® (Evinacumab)

Evkeeza® ist ein vollständig humaner monoklonaler Antikörper und die erste Therapie für HoFH mit einem neuartigen Wirkmechanismus: Evkeeza® bindet und blockiert die Funktion des Angiotensin-Like-3 Proteins (ANGPTL3), eines Proteins, das eine Schlüsselrolle im Lipidmetabolismus spielt. Patienten mit eingeschränkter Funktion des *ANGPTL3*-Gens (so genannte Loss-of-Function-Mutationen) haben signifikant niedrigere Konzentrationen bestimmter Lipide im Blut – darunter LDL-C – und ein wesentlich geringeres Risiko, eine koronare Herzkrankheit zu entwickeln. Durch die Inhibition von ANGPTL3 in Patienten mit HoFH senkt Evkeeza® LDL-C und Triglyzeride. Evkeeza® wird alle 4 Wochen als Infusion verabreicht.

Evkeeza® wurde von der Europäischen Kommission als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Lipoprotein-Cholesterins niedriger Dichte (low-density lipoprotein-cholesterol, LDL-C) zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH) zugelassen. Regeneron Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: REGN), entdeckte und entwickelte Evkeeza® und vertreibt das Produkt in den USA, während Ultragenyx die Vermarktung von Evkeeza® für HoFH in Ländern außerhalb der USA verantwortet.

Indikation

Im Europäischen Wirtschaftsraum ist Evkeeza® als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des LDL-C bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit HoFH zugelassen. Eine Erweiterung der Zulassung auf Kinder ab 5 Jahren wurde kürzlich bei der European Medicines Agency beantragt.

Wichtige Sicherheitsinformationen zu Evkeeza® (Evinacumab)

In einer Phase 3-Studie mit Evkeeza® (R1500-CL-1629) an 65 Patienten mit HoFH waren die häufigsten unerwünschten Ereignisse Nasopharyngitis (13,7% der Patienten), Influenza-ähnliche Erkrankung (7,7%), Schwindel (6%), Rückenschmerzen und Übelkeit (jeweils 5,1%). Das schwerste beobachtete unerwünschte Ereignis war Anaphylaxie (0,9%).

Wer sollte Evkeeza® nicht verwenden?

Evkeeza® darf nicht verwendet werden, wenn Sie auf Evinacumab oder einen anderen Inhaltsstoff von Evkeeza® allergisch reagieren. Evkeeza® ist in der Europäischen Union nicht für

Kinder unter 12 Jahren zugelassen. Die Sicherheit bei Patienten unter 12 Jahren wurde in der Europäischen Union nicht festgestellt.

Bitte informieren Sie Ihren behandelnden Arzt, wenn Sie andere Medikamente einnehmen, kürzlich eingenommen haben oder vorhaben, einzunehmen. Wenn Sie schwanger sind, annehmen, schwanger zu sein oder eine Schwangerschaft planen, bitten Sie um den Rat Ihres Arztes, bevor Sie Evkeeza® anwenden. Evkeeza® könnte Ihrem ungeborenen Kind schaden. Wenn Sie schwanger werden könnten, sollten Sie effektive Verhütungsmethoden anwenden, um eine Schwangerschaft zu verhindern. Verwenden Sie während der Behandlung mit Evkeeza® und mindestens 5 Monate nach Verabreichung der letzten Dosis von Evkeeza® eine effektive Verhütungsmethode. Wenn Sie ein Kind stillen oder dies beabsichtigen, fragen Sie Ihren Arzt um Rat, bevor Sie dieses Medikament anwenden. Es ist nicht bekannt, ob Evkeeza® in der Muttermilch ausgeschieden wird. Es ist unwahrscheinlich, dass Evkeeza® Ihre Fähigkeit, ein Fahrzeug zu führen oder Werkzeuge und Maschinen zu bedienen, beeinträchtigt.

Sie können Nebenwirkungen per Email unter ultragenyx@primevigilance.com berichten.

Bitte konsultieren Sie die vollständige [Fach-und Gebrauchsinformation](#), einschließlich der Fachinformation und der Packungsbeilage.

Über Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich der Entwicklung neuer Medikamente zur Behandlung schwerer seltener genetischer Erkrankungen widmet. Das Unternehmen hat ein breites Entwicklungsportfolio aufgebaut, das Erkrankungen mit eindeutiger Biologie und hohem ungedeckten medizinischen Bedarf adressiert, für die es in der Regel keine zugelassenen Behandlungsmöglichkeiten gibt.

Die Firma wird von einem Management-Team geführt, das über Erfahrung in der Entwicklung und Vermarktung von Therapeutika für seltene Erkrankungen verfügt. Die Strategie von Ultragenyx beruht auf schneller und kosteneffizienter Medikamentenentwicklung mit dem Ziel, sichere und wirksame Therapien für bedürftige Patienten zur Verfügung zu stellen.

Weitere Informationen über Ultragenyx finden Sie auf ultragenyx.de.

Kontakt

Ultragenyx Pharmaceutical, Inc.

Media

Jeff Blake

+1-415-612-7784

media@ultragenyx.com