

Pressrelease för omedelbart frisläppande

Octapharma får amerikanskt godkännande för wilate[®] som sär läkemedel med exklusiv marknadsrätt - den första substitutionsbehandlingen utvecklad särskilt för von Willebrands sjukdom

Milstolpe för Octapharmas inträde på den amerikanska marknaden för koagulationsprodukter

Lachen, Schweiz/Stockholm. Octapharma, en av världens största tillverkare av plasmaprodukter, meddelar att det amerikanska läkemedelsverket, [U.S. Food and Drug Administration](#) (FDA), har godkänt [wilate[®]](#) som sär läkemedel med exklusiv marknadsrätt. Beteckningen beviljades för användning av wilate[®] för behandling av spontana eller traumaframkallade blödningsepisoder hos patienter med svår von Willebrands sjukdom (VWD). Läkemedlet kan även användas av patienter med lindrig eller medelsvår VWD, för vilka man vet eller misstänker att behandling med desmopressin inte har effekt eller är kontraindicerad.

FDA-godkännandet och beviljandet av exklusiv marknadsrätt för wilate[®] innebär att Octapharma nu tar steget in på den amerikanska marknaden för koagulationsprodukter. Enligt planen kommer wilate[®] att finnas på USA-marknaden redan i början av 2010.

"Att FDA beviljar exklusiv marknadsrätt för wilate[®] är ett viktigt framsteg för Octapharmas utveckling av läkemedlet", säger Kim Björnstrup, vice ordförande för Octapharma Group. "Ett krav för att wilate[®] skulle godkännas som sär läkemedel med exklusiv marknadsrätt var att vi skulle motivera för FDA att wilate[®] kan vara kliniskt överlägset befintliga behandlingar (7). wilate[®] är särskilt utvecklat och tillverkas speciellt för behandling av VWD. Den unika kombinationen av två inaktiveringssteg för virus, hög renhet och en fysiologisk 1:1-kvot av FVIII och VWF representerar en ny generation behandlingsalternativ för patienter med von Willebrands sjukdom."

Om wilate[®]:

wilate[®] är ett nyligen utvecklat, högre, dubbelt virusinaktiverat koncentrat av von Willebrandfaktorn och koagulationsfaktor VIII (human) som i fyra prospektiva kliniska prövningar med både objektiva och subjektiva kriterier har visats ha effekt på alla typer av VWD, även hos barn. wilate[®] är godkänt för försäljning i Sverige sedan augusti 2007.

Den 4 december 2009 registrerade FDA wilate[®] för behandling av spontana och traumaframkallade blödningsepisoder hos patienter med svår VWD samt för patienter med mild eller moderat VWD för vilka det är känt eller misstänks att desmopressin inte har effekt eller är kontraindicerat (1). wilate[®] är det första dubbelt virusinaktiverade högrena koncentratet av VWF/FVIII (von Willebrandfaktorn/faktor FVIII). För virusinaktiveringen används dels en S/D-metod med lösningsmedel och detergent, dels ett särskilt system för värmebehandling efter sluttillverkning (TDH). De reningsprocesser som har valts för tillverkningen innebär att VWF/FVIII-komplexet isoleras under betingelser som ger ett mycket effektivt skydd av proteiner. På så sätt kan man uppnå en 1:1-kvot av VWF:RCo (ristocetin kofaktor) och FVIII-aktiviteter som är lika höga som i normal plasma. Albumin tillsätts inte som stabilisator.

Fyra prospektiva kliniska prövningar har visat säkerhet, tolerabilitet och hemostatisk effekt hos wilate[®] vid behandling av akuta blödningsepisoder och förebyggande behandling av patienter med olika typer av VWD. När wilate[®] observerades med objektiva kriterier vid 1 068 blödningsepisoder fungerade behandlingen i mellan 84 % och 93 % av fallen, med en viss variation beroende på typ av patient (3).

Sedan mitten av 1980-talet har kraven på virussäkerhet hos plasmaprodukter blivit allt strängare: nu krävs bevisad viruseliminering/virusinaktivering (4) (5). Flera virusinaktiveringssteg har ökat säkerheten hos koagulationsprodukter, men S/D-inaktivering är den gällande standarden för skydd mot höginfektiösa hölje-försedda virus (6). Octapharma var först på sitt område med att använda S/D-inaktivering vid storskalig produktion av plasmaderivat. Tillverkningsprocessen för wilate[®] innehåller två oberoende och effektiva förfaranden för inaktivering av virus, dels S/D-behandling i bulk, dels TDH-behandling av den frystorkade produkten i slutbehållaren. Dessutom ingår ett jonbytessteg som bidrar ytterligare till att göra wilate[®] virussäkert.

Humanplasma innehåller VWF och FVIII i mycket låga koncentrationer. Tillverkningsprocessen för wilate[®] är utformad för att anrika VWF/FVIII-komplex. Medföljande plasmaproteiner som kan orsaka kliniska biverkningar och proteaser som kan göra koagulationsfaktorerna mindre stabila, bryta ner deras naturliga struktur och försämra deras funktion renas bort på ett effektivt sätt under tillverkningen.

Om VWD:

VWD är den vanligaste blödarsjukdomen. I USA har mellan en och två procent av befolkningen VWD, enligt [Centers for Disease Control and Prevention](#) (2). Sjukdomen beror på att kroppen inte kan producera fungerande von Willebrandfaktor, ett av de proteiner som gör att blodet kan koagulera. Mer information om von Willebrands sjukdom finns på www.vonwillebrand.se.

Om Octapharma Group:

Octapharma är en av världens största tillverkare av plasmaprodukter. Huvudkontoret finns i Lachen i Schweiz, och företaget har varit verksamt inom patientvård och medicinsk innovation i över 25 år. Octapharmas kärnverksamhet är utveckling, produktion och försäljning av högkvalitativa behandlingar med humanproteiner, både från humanplasma och från human cellinje. Octapharma har över 3 000 anställda och har biofarmaceutisk erfarenhet från 80 länder över hela världen. Octapharma driver fem högteknologiska produktionsanläggningar varav en i Stockholm. Mer information finns på www.octapharma.se.

Kontakt:

Annica Arnberg
Regional Business Development Manager, Coagulation
Octapharma Nordic AB
08-566 432 57, 073-920 3006

Referenser

- (1) Mollison.P.L., Engelfriet C.P., Contreras M.: Some unfavourable effects of transfusion; in Klein H.G., Anstee D.J. (eds): Mollison's Blood Transfusion in Clinical Medicine. Blackwell Publishing, 2005, pp 666-700.
- (2) Centers for Disease Control and Prevention. Bleeding disorders. Available at www.cdc.gov/ncbddd/hbd/hemophilia.htm. Accessed on November 22, 2009.
- (3) Wilate Approved Complete Prescribing Information, December 2009.
- (4) Note for guidance on virus validation studies: The design, contribution and interpretation of studies validating the inactivation and removal of viruses CPMP/BWP/268/95 February 1996.
- (5) Note for guidance on plasma-derived products CPMP/BWP/269/95, rev.2. July 1998.
- (6) Farrugia A . Guide for the assessment of clotting factor concentrates for the treatment of Hemophilia. 2003, WFH.
- (7) Department of Health and Human Services Food and Drug Administration 21 CFR Part 316 (Docket No. 85N-0483), RIN 0905-AB55 Orphan Drug regulations, Subpart C Available at www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/HowtoapplyforOrphanProductDesignation/ucm135122.htm