

2000-06-26

Pressmeddelande

FDA godkänner första läkemedlet för behandling av tillväxtstörning hos barn med Prader-Willis syndrom

- Ytterligare data indikerar både minskad mängd kroppsfett och ökad muskelmassa

PEAPACK, New Jersey (den 21 juni 2000) – Pharmacia Corporation meddelar att US Food & Drug Administration (FDA) har godkänt GENOTROPIN (somatropin [ursprung rDNA] injektionslösning) och givit medlet status som s k orphan drug med indikationen tillväxtstörningar hos barn med Prader-Willis syndrom (PWS). Detta är en sällsynt genetisk sjukdom som ger kortväxthet, en tvångsdrift att äta kontinuerligt, låg muskeltonus och kognitiva handikapp.

Man beräknar att det finns mellan 17 000 och 22 000 amerikaner med PWS. Även om PWS är sällsynt är det en av de tio vanligaste sjukdomarna som förekommer på genetikmottagningarna och den vanligaste kända genetiska orsaken till fetma¹. "Det kan innebära ett hårt slag för föräldrarna att få veta att deras barn har PWS. Utöver kampen för att deras barn skall klara de fysiska och känslomässiga störningar som följer med sjukdomen måste de genomföra en livslång kamp emot en fetma som faktiskt kan bli så allvarlig att den hotar deras barns liv", säger Janalee Heinemann, Executive Director, Prader-Willi Syndrome Association, själv mor till ett barn med PWS. "Efter så många år utan något officiellt erkänt behandlingsalternativ för sjukdomen, är godkännandet av GENOTROPIN för behandling av PWS ett viktigt medicinskt framsteg för dessa barn."

Barn med PWS föds med en störning i hypotalamus, den del av hjärnan som styr tillväxt, pubertetsutveckling och känslor av hunger och mättnad. Som en följd av detta sker ofta tillväxtstörningar, i kombination med en tvångsmässig drift att äta kontinuerligt. Problemet förvärras av att personer med PWS i praktiken behöver betydligt färre kalorier för att upprätthålla en lämplig vikt. Kombinationen av driften att äta och ett sänkt behov av kalorier leder till det största problemet med sjukdomen – en potentiellt livsfarlig fetma.

"Individer med Prader-Willis syndrom har en komplicerad genetisk skada, som yttrar sig i onormalt utseende, kortvuxenhet och fetma", säger dr Phillip Lee, Director of Endocrinology and Metabolism at Children's Hospital of Orange County, Kalifornien. "Trots sin omättliga aptit har personer med PWS påtagligt sänkt muskelmassa, mycket låg muskelstyrka och svag benstomme. Dessa egenskaper kan ge upphov till besvärliga medicinska komplikationer och inskränkningar i livsföringen. Om barn med PWS behandlas med tillväxthormon ökar deras tillväxt, deras muskelmassa ökar och mängden av kroppsfett kan börja minska. Enligt mina erfarenheter kan dessa förändringar göra att kroppen får ett nästan normalt utseende och att barnen och deras familjer får en avsevärd förbättring av sin livskvalitet. Behandling med tillväxthormon ger nytt hopp vid en sjukdom som hittills haft mycket få, om ens några, effektiva behandlingsmetoder."

¹ Prader-Willi Syndrome Association, 2000

I två randomiserade, öppna, kontrollerade kliniska prövningar behandlades 23 PWS-barn med GENOTROPIN. En kontrollgrupp fick den normala behandlingen. Efter ett års behandling förelåg en kliniskt och statistiskt signifikant skillnad i den genomsnittliga kroppslängden mellan behandlings- och kontrollgruppen. Detta gällde båda de kliniska prövningarna. Den linjära tillväxten fortsatte under det andra årets behandling, när båda grupperna fick behandling med GENOTROPIN. Dessutom hade GENOTROPIN gynnsam effekt på kropps-konstitutionen efter ett år, med en ökning av muskelmassan och en minskning av kroppsfettet. Kroppsvikten påverkades inte märkbart. Diagnosen PWS bör bekräftas genom genetisk analys. I motsats till tillväxtstörning vid brist på tillväxthormon kräver inte tillväxtstörningen vid PWS att behandlingen föregås av ett prov med stimulering av bildningen av tillväxthormon.

Vid de båda kliniska prövningarna rapporterades följande biverkningar: ödem, aggressivitet, ledvärk, godartad intrakraniell hypertoni, håravfall, huvudvärk och muskelsmärter. Skolios uppträder ofta hos patienter med PWS. Läkaren bör vara uppmärksam på denna komplikation, som kan uppträda eller förvärras under behandlingen med tillväxthormon. Personer som har diabetes mellitus (typ 1 eller 2) eller är intoleranta mot glukos bör följas noggrant under behandling med GENOTROPIN, eftersom behandlingen kan göra att insulindosen måste korrigeras.

I USA har GENOTROPIN frystorkat pulver (somatropin, [ursprung rDNA] injektionslösning) varit godkänt för långtidsbehandling av barn med brist på tillväxthormon (GHD) sedan augusti 1995, och för behandling av vuxna med GHD från barndomen eller efter sjukdomsdebut i vuxen ålder sedan november 1997. GENOTROPIN är idag världens mest använda tillväxthormon och det enda tillväxthormonet som är godkänt i USA för behandling av PWS. GENOTROPIN är receptbelagt. Med tanke på det begränsade antalet personer som har PWS har FDA givit GENOTROPIN status som s.k. orphan drug för indikationen PWS. Detta sker endast för behandlingar där den möjliga patientgruppen understiger 200 000. Denna status innebär att Pharmacia får sju års ensamrätt att marknadsföra läkemedlet mot PWS.

Pharmacia Corporation är ett ledande globalt läkemedelsföretag som bildats genom ett samgående mellan Pharmacia & Upjohn och Monsanto Company med dess läkemedelsdel G.D. Searle. Pharmacia har en omfattande produktportfölj, ett starkt tillflöde av nya läkemedel och en årlig budget för forskning och utveckling av läkemedel på drygt 17 miljarder SEK. Företaget är noterat på New York Stock Exchange och på OM Stockholmsbörsen under kortnamnet PHA.

GENOTROPIN är ett registrerat varumärke som ägs av Pharmacia Corporation.

www.pharmacia.se, www.pharmacia.com, www.genotropin.com

Kontaktperson för media:

Rolf Gulliksen, Informationschef
Tel 08-695 70 70
Mobil 070 608 56 31

Kontaktperson för finansanalytiker:

Craig Tooman
Tel 1-908-901-8853

Mikael Brönnegård, Medicinsk chef, Peptide Hormones
Tel 070 374 72 61