

Genoa Pharmaceuticals erhält Orphan-Drug-Zulassung für Pirfenidon bei der inhalativen Behandlung der idiopathischen Lungenfibrose

in [Forschung & Entwicklung](#)

Genoa Pharmaceuticals, der Marktführer für Inhalationsmedikamente gegen Lungenfibrose, gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA (Food and Drug Administration) Genoa die Orphan-Drug-Bezeichnung für die Verwendung von Pirfenidon in ihrem Leitprogramm erteilt hat - Inhaled GP-101 zur Behandlung von IPF .

"Die Erlangung des Orphan-Status ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein im Lebenszyklus von GP-101, um Menschen mit dieser verheerenden Krankheit zu behandeln", sagte Mark Surber, Ph.D., President und Chief Executive Officer von Genoa. "Wir freuen uns, die Entwicklung von inhaliertem GP-101 fortzusetzen. Die klinischen Studien beginnen Anfang 2015."

Orales Pirfenidon (Esbriet®) verspricht eine Verlangsamung des Fortschreitens der IPF-Erkrankung. Leider ist eine sehr große orale Dosis erforderlich, um wirksame Lungenwerte zu erreichen. Trotz der Einhaltung der oberen Sicherheitsschwelle (801 mg TID) ist die resultierende oral verabreichte Lungendosis für eine optimale Wirkung zu niedrig. Darüber hinaus bleiben die gastrointestinale Exposition und die hohen Blutspiegel schlecht toleriert. Aus diesen Gründen ist eine Eskalation der oralen Dosis für eine optimale IPF-Wirksamkeit nicht möglich. Komplizierte Angelegenheiten, dosisabsorbierende Nahrung, First-Pass-Metabolismus sowie sicherheitsgerichtete Protokolle zur Dosisreduktion und -unterbrechung reduzieren die Lungendosis weiter und unterbrechen die Erhaltungstherapie.

Um orale Mängel zu beheben und die IPF-Wirksamkeit zu maximieren, hat Genoa Pirfenidon für die Aerosolbildung und die inhalative direkte Lungenabgabe (GP-101) neu formuliert. Durch diesen Ansatz wird vorausgesagt, dass ~ 160-fach weniger inhaliertes Pirfenidon eine Esbriet-äquivalente IPF-Wirksamkeit liefert (5 mg gegenüber 801 mg). Mit einer so geringen inhalativen Dosis können verbleibende Sicherheits- und Verträglichkeitsprobleme beseitigt werden, was eine verbesserte Compliance des Patienten und eine erhöhte inhalative Dosis für eine überlegene IPF-Wirksamkeit ermöglicht. Ein sicheres und gut verträgliches Inhalationsprodukt soll nicht nur als Esbriet-Ersatz mit verbesserter Wirkung dienen, sondern auch die gewünschten, ansonsten jedoch schlecht verträglichen Kombinationsschemata ermöglichen (z. B. mit Nintedanib von Boehringer Ingelheim).

Über Orphan Drug Designation

Orphan Drug Designation ist ein Status, der einem Arzneimittel zur Behandlung seltener Krankheiten zugewiesen wird. In den USA werden im Rahmen des Orphan Drug Designation-Programms Arzneimittel zur sicheren und wirksamen Behandlung oder Vorbeugung seltener Krankheiten, von denen weniger als 200.000 Menschen betroffen sind, als Orphan Drug eingestuft. In der EU muss ein Arzneimittel ähnliche Kriterien erfüllen, von denen bis zu fünf von 10.000 Menschen betroffen sind. Orphan Designation für inhaliertes GP-101 wird in der EU mit klinischen Daten verfolgt. Der Orphan-Status bietet Sponsoren Entwicklungs- und kommerzielle Anreize, einschließlich einer Marktexklusivität von 7 bzw. 10 Jahren für diese beiden Regionen.

Über IPF

IPF ist eine tödliche Lungenerkrankung, die sowohl durch genetische als auch durch Umweltfaktoren verursacht wird und zu fortschreitender Lungenvernarbung und zum Tod aufgrund von Atemversagen und / oder Komorbiditäten führt. Diese Krankheit ist durch trockenen Husten, Atemnot und verminderte Belastbarkeit gekennzeichnet und hat eine Überlebenszeit von ~ 2-5 Jahren nach der Diagnose, bei der jährlich mehr Menschen als bei Brustkrebs sterben. Da Fibrose derzeit irreversibel ist, wird ein wirksames Produkt eine gut verträgliche eigenständige oder kombinierte Erhaltungstherapie liefern, die gesundes Lungengewebe vor eindringender Fibrose schützt oder das Fortschreiten der Krankheit erheblich verlangsamt.

Über Genoa Pharmaceuticals

Genoa Pharmaceuticals, Inc. hat sich zum Ziel gesetzt, verbesserte Therapien zur Behandlung von IPF zu entwickeln. GP-101 (Aerosol Pirfenidon) mit Sitz in San Diego, Genua, plant, Anfang 2015 an klinischen Studien teilzunehmen. Weitere Informationen unter www.genoapharma.com

Tags: [Genoa Pharmaceuticals erhält Orphan-Drug-Zulassung für Pirfenidon bei der inhalativen Behandlung der idiopathischen Lungenfibrose](#)