

Kontakte:

Hubert Kümper, Brunswick Group

Tel. +49 30 206 733 808

Alnylam@brunswickgroup.com



PRESSEMITTEILUNG

**Länderübergreifende Zusammenarbeit bei seltenen Erkrankungen:
Premiere für das Drei-Länder-Forum Amyloidose**

- *Ärztinnen und Ärzte unterschiedlicher Fachdisziplinen aus Deutschland, Österreich und der Schweiz kommen vom 22.-23. November auf Einladung von Alnylam zum ersten „Drei-Länder-Forum Amyloidose“ in München zusammen.*
- *Im Mittelpunkt stehen neue Diagnose- und Therapiemethoden für die hereditäre Transthyretin-Amyloidose (hATTR), eine seltene genetisch-bedingte Erkrankung. Für Ärztinnen und Ärzte rücken diese Erkrankungen zunehmend in den Fokus, da medizinische Durchbrüche in jüngster Zeit die therapeutischen Möglichkeiten stark erweitert haben.*
- *Das Drei-Länder-Forum soll künftig jährlich, abwechselnd in Deutschland, Österreich und der Schweiz, stattfinden und den interdisziplinären und länderübergreifenden Austausch in diesem jungen Gebiet der Medizin fördern.*

München, 22. November 2019 – Alnylam, das führende Unternehmen in der Entwicklung von RNAi-Therapeutika, lädt vom 22. bis 23. November Ärztinnen und Ärzte aus Deutschland, Österreich und der Schweiz zum ersten „Drei-Länder-Forum Amyloidose“ nach München. Ziel ist es, über Neuigkeiten in der Diagnostik und Behandlung der vielgesichtigen Erkrankung der erblichen (hereditären) Transthyretin-Amyloidose (hATTR) zu informieren und den interdisziplinären Austausch länderübergreifend zu fördern. Zur Auftaktveranstaltung des Drei-Länder-Forums werden Ärztinnen und Ärzte vorwiegend aus den Fachbereichen Neurologie und Kardiologie erwartet.

hATTR ist eine seltene Erkrankung, die dank neuer Therapieoptionen verstärkt die ärztliche Aufmerksamkeit auf sich zieht. Bei der hATTR verursacht eine genetische Mutation eine fehlerhafte Faltung und Ablagerung des Proteins Transthyretin (TTR) in verschiedenen Organen. Dies führt im stetig fortschreitenden Krankheitsverlauf zu erheblichen Funktionseinschränkungen der betroffenen Organe – vor allem den Gliedmaßen und dem Herzen. Im fortschreitenden Verlauf führt die Erkrankung zu Behinderung und schließlich zu Organversagen und frühzeitigem Tod. Eine frühe und korrekte Diagnose ist daher besonders entscheidend, um rechtzeitig mit der therapeutischen Behandlung beginnen und die Krankheitsprogression stoppen oder zumindest verlangsamen zu können.

„Das therapeutische Spektrum zur Behandlung der hATTR erweitert sich zurzeit beträchtlich. Daher sind wir Ärzte in der Bringschuld, diese Erkrankung frühzeitig zu erkennen, um sie behandeln zu können“, sagt PD Dr. Katrin Hahn, Fachärztin für Neurologie an der Charité Berlin und deutsches Mitglied im Steering-Committee des Drei-Länder-Forums. Seit kurzer Zeit gibt es Optionen für eine kausale Behandlung der hATTR, unter anderem auf Basis der RNA-Interferenz (RNAi), einem zellulären Mechanismus zur gezielten Regulierung einzelner Gene. Die Entdeckung der RNAi wurde 2006 mit dem Nobelpreis für Physiologie oder Medizin prämiert.

Auf dem Programm des Drei-Länder-Forums stehen vor allem der Wissensaustausch zur Diagnose der neurologisch oder kardial ausgeprägten hATTR-Amyloidose. Im Zuge der Vorstellung innovativer Therapieoptionen gibt es einen vertiefenden Blick auf die Entwicklung der Technologie der RNA-Interferenz: von der Entdeckung Ende der 1990er Jahre über den Nobelpreis bis zum ersten zugelassenen Medikament knapp 20 Jahre später. Neben Workshops zu den medizinischen Aspekten tauschen sich die Teilnehmerinnen und Teilnehmer auch über Fragen der optimalen Versorgung aus, etwa zum Patientenmanagement sowie zu den Vorteilen interdisziplinärer Behandlungszentren.

Univ.-Prof. Dr. Michaela Auer-Grumbach, Fachärztin für Neurologie und Psychiatrie sowie österreichisches Mitglied des Steering Committee: „Wir freuen uns über das große Interesse am erstmalig stattfindenden Drei-Länder-Forum Amyloidose. Dieses Forum bietet eine neue Plattform zum fach- und länderübergreifenden Austausch über die hereditäre Transthyretin-Amyloidose. Zusätzlich ist der Erfahrungsaustausch über unterschiedliche Versorgungsstrukturen und das gegenseitige Lernen von Best-Practice-Beispielen in Deutschland, Österreich und der Schweiz ein zentrales Element des Forums.“

Hannes Schmeil, Geschäftsführer von Alnylam Germany: „Die Transthyretin-Amyloidose wird auch heute noch zu häufig erst in fortgeschrittenen Stadien diagnostiziert. Die Aufklärung und Ausbildung der Medizinerinnen und Mediziner ist daher von entscheidender Bedeutung für die Patienten. Die von Alnylam zur Anwendungsreife entwickelte Technologie der RNA-Interferenz bringt zudem einen gänzlich neuen Ansatz bei der Behandlung dieser genetisch-bedingten Erkrankung. Damit Patienten von den medizinischen Fortschritten profitieren, bedarf es aber auch spezialisierter Versorgungsstrukturen mit einschlägigen Zentren für seltene Erkrankungen. Alnylam engagiert sich daher, den Aufbau dieser Strukturen zu unterstützen.“

###

Über das Drei-Länder-Forum Amyloidose

Die anderthalbtägige Veranstaltung „Drei-Länder-Forum Amyloidose“ wird von Alnylam ausgerichtet und findet in diesem Jahr erstmalig in Deutschland statt. Die Veranstaltung soll künftig im jährlichen Wechsel auch in Österreich und der Schweiz stattfinden. Zentrales Ziel ist die Vermittlung von Wissen und Erfahrung im Umgang mit einer seltenen, aber sehr vielgesichtigen Erkrankung wie der Amyloidose. Neben dem fachlichen und interdisziplinären Austausch bildet die Vernetzung von erfahrenen Fachärztinnen und -ärzten und jungen Medizinerinnen und Medizinern im gesamten deutschsprachigen Raum einen weiteren Schwerpunkt des Drei-Länder-Forums.

Über Transthyretin (ATTR)-Amyloidose^{1,2}

Hereditäre Transthyretin (TTR)-vermittelte Amyloidose (hATTR) ist eine erbliche, fortschreitend beeinträchtigende und oft tödlich verlaufende Erkrankung, die durch Mutationen im TTR-Gen ausgelöst wird. Das TTR-Protein wird hauptsächlich in der Leber gebildet und ist normalerweise ein Träger von Vitamin A. Mutationen im TTR-Gen führen zur Ablagerung von abnormen Amyloid-Proteinen und dadurch zur Schädigung von Körperorganen und Geweben wie peripheren Nerven und des Herzens. Dies verursacht eine schwere periphere sensorische Neuropathie, autonome Neuropathie und/oder Kardiomyopathie wie auch weitere Manifestationen der Erkrankung. Bei hATTR-Amyloidose besteht ein hoher ungedeckter medizinischer Bedarf in Verbindung mit bedeutender Morbidität und Mortalität. Weltweit sind etwa 50.000 Menschen betroffen. Die mediane Überlebenszeit beträgt 4,7 Jahre nach Diagnosestellung. Bei Patienten mit Kardiomyopathie reduziert sich diese Überlebenszeit auf 3,4 Jahre.

Die hATTR-Amyloidose kann an die Nachkommen vererbt werden, wenn ein Elternteil die Mutation trägt, was den Kindern eine 50-prozentige Chance gibt, diese Mutation zu erben (obwohl nicht alle Menschen mit der Mutation Symptome der Krankheit entwickeln werden).

Über RNAi^{3,4}

RNAi (RNA-Interferenz) ist ein natürlicher, zellulärer Prozess zur Stummschaltung von Genen, die derzeit eine der vielversprechendsten und am schnellsten voranschreitenden Grenzbereiche in Biologie und Arzneimittelentwicklung darstellt. Ihre Entdeckung wurde als „ein bedeutender wissenschaftlicher Durchbruch, der vielleicht einmal pro Dekade vorkommt“, begrüßt und 2006 durch die Verleihung des Nobelpreises für Physiologie oder Medizin anerkannt. Durch Nutzung des natürlichen biologischen Prozesses der RNAi in unseren Zellen ist nun eine neue Klasse von Medikamenten, die als RNAi-Therapeutika bekannt sind, Realität geworden. RNAi-Therapeutika funktionieren, indem sie verhindern, dass ein bestimmtes Gen abgelesen werden kann. Für das Ablesen eines Gens ist die Messenger-RNA (mRNA) verantwortlich. RNAi-Therapeutika bestehen aus „kleinen eingreifenden RNA“-Molekülen (small interfering RNA, siRNA), die die spezifischen mRNA-Moleküle blockieren und damit die Aktivierung eines Gens verhindern. Somit wird die Bildung von krankheitsauslösenden Proteinen verhindert. Damit wirken RNAi-Therapeutika auf einer den bisherigen Medikamenten vorgelagerten Ebene. Es handelt sich hier um einen bahnbrechenden Ansatz mit dem Potenzial, die Versorgung von Patienten mit genetischen und anderen Erkrankungen zu verbessern.

Über Alnylam Pharmaceuticals

Das Unternehmen Alnylam (Nasdaq: ALNY) ist führend bei der Translation der RNA-Interferenz (RNAi) in eine neue Klasse innovativer Medikamente, die das Potenzial haben, das Leben von Menschen, die an seltenen genetischen, kardiometabolischen, infektiösen Erkrankungen der Leber sowie an Erkrankungen des zentralen Nervensystems/der Augen leiden, grundlegend zu verändern. Basierend auf wissenschaftlichen Erkenntnissen, die mit dem Nobelpreis ausgezeichnet wurden, stellen RNAi-Therapeutika einen starken, klinisch validierten Ansatz für die Behandlung von Erkrankungen mit einem hohen unerfüllten medizinischen Bedarf dar. Das erste auf dem Markt erhältliche RNAi-Therapeutikum von Alnylam ist ONPATPRO® (Patisiran), das in den USA, der EU, in Kanada, in Japan und in der Schweiz zugelassen ist. Alnylam hat eine lange Pipeline mit zahlreichen Prüfpräparaten, einschließlich fünf Produktkandidaten in Phase-3-Studien und eines in der Zulassungsphase. Mit Blick auf die Zukunft wird Alnylam seine „Alnylam 2020“-Strategie weiterverfolgen, ein biopharmazeutisches Unternehmen mit mehreren Produkten im Stadium der Vermarktung aufzubauen, das zudem über eine nachhaltige Pipeline an RNAi-basierten Medikamenten verfügt, um die Bedürfnisse von Patienten mit begrenzten oder ungenügenden Behandlungsoptionen zu erfüllen. Alnylam hat seinen Hauptsitz in Cambridge, Massachusetts (USA), und hat über 1.200 Beschäftigte weltweit. Für weitere Informationen über unsere Mitarbeiter, Forschungstätigkeit und Produktpipeline besuchen Sie bitte www.alnylam.com und folgen Sie uns auf Twitter unter [@Alnylam](https://twitter.com/Alnylam) oder auf [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/alnylam).

¹ Suanprasert N et al. J Neurol Sci. 2014; 344: 121–1287.

² Hawkins PN et al. Annals of Medicine. 2015; 47(8): 625–638

³ Couzin J. Science. 2002; 298: 2296–2297

⁴The Nobel Assembly at Karolinska Institutet. The 2006 Nobel Prize in Physiology or Medicine. Nobel Media AB 2014