

# Merck erhält „Orphan Drug“-Status für Immuntherapie

Kategorie: [Pharma](#)

Erschienen am: 9. Januar 2019

Merck, ein Wissenschafts- und Technologieunternehmen, hat bekannt gegeben, dass die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) M7824 als „Orphan Drug“ (OD) für die Behandlung von Tumoren des biliären Trakts (BTC) eingestuft hat. Der OD-Status der EMA folgt auf die Klassifizierung von M7824 ebenfalls als „Orphan Drug“ in der Indikation BTC durch die amerikanische Gesundheitsbehörde (FDA) vor wenigen Wochen. M7824 ist eine in Prüfung befindliche bifunktionale Immuntherapie, die so konzipiert ist, dass sie den TGF- $\beta$  (transformierenden Wachstumsfaktor beta)- und den PD-L1-Mechanismus kombiniert blockiert, mittels derer Tumoren der Bekämpfung durch das Immunsystem entgehen.

„Die Einstufung als „Orphan Drug“ durch die EMA ist eine weitere Anerkennung des Anspruchs von Merck, innovative Therapien für Menschen mit herausfordernden Krebserkrankungen wie Tumoren des biliären Trakts bereitzustellen. Dies ist die zweite Klassifizierung als „Orphan Drug“ für M7824 innerhalb von nur wenigen Wochen. Merck will das Potenzial dieser neuen Klasse von Immuntherapien weiter erforschen, um den Therapieerfolg bei einer Reihe von schwierig zu behandelnden Tumoren zu verbessern.“

**Luciano Rossetti, Leiter der globalen Forschung und Entwicklung im Biopharma-Geschäft von Merck**

Unter der Sammelbezeichnung BTC werden verschiedene seltene und aggressive Tumoren des Magen-Darm-Trakts zusammengefasst. Hierzu zählen das intrahepatische Gallengangskarzinom (ICC), das extrahepatische Gallengangskarzinom (ECC) und das Gallenblasenkarzinom (GBC).<sup>1</sup> Schätzungen zufolge treten jedes Jahr weltweit etwa 186.000 Fälle von BTC auf.<sup>2</sup> Es stehen nur begrenzte Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung und die mittlere Überlebenszeit im fortgeschrittenen Stadium beläuft sich auf weniger als ein Jahr. Das objektive Tumoransprechen bei konventioneller Chemotherapie liegt typischerweise unter 10 % bei gleichzeitig kurzer Ansprechdauer.<sup>1,3,5</sup>

Mit dem OD-Status will die EMA die Entwicklung neuer Behandlungen für seltene (nicht mehr als 5 von 10.000 Einwohnern der EU betreffende) lebensbedrohliche oder chronisch stark beeinträchtigende Erkrankungen fördern. Arzneimittel, die die OD-Kriterien der EMA erfüllen, kommen für eine Reihe von Fördermaßnahmen infrage, um die Entwicklung voranzutreiben.

Die ersten klinischen Daten zu M7824 bei BTC, die im Oktober auf der Jahrestagung der European Society of Medical Oncology (ESMO) vorgestellt wurden, belegen eine klinische Wirksamkeit bei asiatischen Patienten, deren Erkrankung nach platinbasierter Erstlinientherapie fortgeschritten war. Die objektive Ansprechrate betrug bei den insgesamt 30 Patienten 20 % gemäß Bewertung durch ein unabhängiges Gremium. Ein Ansprechen wurde bei unterschiedlichen PD-L1-Expressionsniveaus beobachtet. Die Ansprechdauer reichte von 8,3 Monaten bis zu 13,9+ Monaten. Bei 10 Patienten (33,3 %) traten behandlungsbedingte unerwünschte Ereignisse (TRAEs) Grad 3 oder höher auf. Zu den häufigsten TRAEs Grad 3 zählten Rash (10 %) und erhöhte Lipase (10 %).

M7824 ist eine in der Prüfphase befindliche bifunktionale Immuntherapie, die einen TGF- $\beta$ -Trap mit dem Anti-PD-L1-Mechanismus in einem Fusionsprotein kombiniert. M7824 soll diese zwei immunsupprimierenden Signalwege kombiniert blockieren und so das Tumorstadium in Schach halten, indem Antitumorreaktionen potenziell wiederhergestellt und verstärkt werden sollen. M7824 ist eine wichtige Komponente eines neuartigen Kombinationsansatzes, der sich die Stärke des Immunsystems

## **PROZESSTECHNIK-PORTAL**

Das Fachportal für die gesamte Prozessindustrie  
<https://www.prozesstechnik-portal.com>

---

zunutze machen will, um die äußerst komplexe Natur schwierig zu behandelnder Tumoren anzugehen. Bisher sind im Rahmen des Studienprogramms mehr als 670 Patienten mit verschiedenen soliden Tumoren mit M7824 behandelt worden. Neben der Indikation BTC wird M7824 in soliden Tumoren wie dem nicht-kleinzelligen Bronchialkarzinom, HPV-assoziierten Tumoren sowie gastrointestinalen Tumoren (z. B. Magenkrebs, ösophageales Plattenepithelkarzinom und ösophageales Adenokarzinom) untersucht.