

Vertex präsentiert klinische Daten zum dauerhaften Nutzen von CASGEVY® auf diesjährigem Kongress der European Hematology Association – (EHA) und gibt ein Update zur Erweiterung des weltweiten Zugangs zu CASGEVY®

- *Follow-up-Daten von Patientinnen und Patienten in klinischen Studien belegen weiterhin den dauerhaften transformativen Nutzen von CASGEVY®.*
- *Es wurden in mehreren Ländern Vereinbarungen zur Kostenerstattung geschlossen, die weiteren Patientinnen und Patienten auf der ganzen Welt Zugang zu CASGEVY® ermöglichen.*

Wien – 18.06.2025 – Vertex Pharmaceuticals (Austria) GmbH informiert über positive Follow-up-Daten zu CASGEVY® (Exagamglogene autotemcel, kurz: Exa-cel) aus weltweiten klinischen Studien mit Menschen mit schwerer Sichelzellerkrankung (SCD) oder transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie (TDT). Die Ergebnisse, die auf dem diesjährigen Kongress der European Hematology Association (EHA) vorgestellt wurden, belegen weiterhin den transformativen, dauerhaften klinischen Nutzen von Exa-cel. Die längste Nachbeobachtungszeit bei SCD-Betroffenen beträgt nun mehr als 5,5 Jahre und bei TDT-Betroffenen mehr als 6 Jahre, mit einem Mittelwert von 39,4 bzw. 43,5 Monaten. Exa-cel ist die erste und momentan einzige zugelassene CRISPR/Cas9-Geneditierungstherapie.

„Diese längerfristigen Daten bestätigen erneut, dass CASGEVY® einen bedeutenden und dauerhaften klinischen Nutzen für Menschen mit schwerer Sichelzellerkrankung oder transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie bieten kann“, so *Dr. Franco Locatelli*, Ph.D., Professor für Pädiatrie an der Katholischen Universität vom Heiligen Herzen in Rom, Direktor der Abteilung für pädiatrische Hämatologie und Onkologie am Bambino Gesù Kinderkrankenhaus, Vorsitzender des TDT-Programm Steering-Komitees von Vertex und präsentierender Autor der klinischen Daten von Exa-cel beim EHA. „Angesichts des dringenden und ungedeckten Bedarfs an neuen, transformativen Behandlungen für diese Krankheiten freue ich mich über die großen Fortschritte, die erzielt wurden, um CASGEVY® für geeignete Patientinnen und Patienten im klinischen Alltag verfügbar zu machen.“

Neue Follow-up-Daten aus Exa-cel-Studien vorgestellt

- Bei SCD waren 43/45 (95,6 %) der Patientinnen und Patienten mit auswertbaren Daten (mindestens 16 Monate Nachbeobachtungszeit) für mindestens 12 aufeinanderfolgende Monate (VF12) frei von vasookklusiven Krisen (VOCs) in CLIMB-121 und CLIMB-131 (95 % CI: 84,9 %, 99,5 %). Die durchschnittliche Dauer der VOC-Freiheit betrug 35 Monate (Spanne 14,4 bis 66,2 Monate).
 - Alle Patientinnen und Patienten mit auswertbaren Daten (45/45 [100 %]) waren für mindestens 12 aufeinanderfolgende Monate frei von stationären Krankenhausaufenthalten wegen schwerer VOCs (HF12) in CLIMB-121 und CLIMB-131 (95 % KI: 92,1 %, 100 %), wobei die durchschnittliche Dauer ohne Krankenhausaufenthalt 36,1 Monate betrug (Spanne 14,5 bis 66,2 Monate).
- Bei TDT erreichten 54/55 (98,2 %) der Patientinnen und Patienten mit auswertbaren Daten (mit einer Nachbeobachtungszeit von mindestens 16 Monaten) eine Transfusionsunabhängigkeit von mindestens 12 aufeinanderfolgenden Monaten mit einem gewichteten durchschnittlichen Hämoglobin (Hb) von mindestens 9 g/dl (TI12) (95 % KI: 90,3 %, 100 %) in CLIMB-111 und CLIMB-131. Die mittlere Dauer der Transfusionsunabhängigkeit betrug 40,5 Monate (Spanne 13,6 bis 70,8 Monate).
 - Ein Studienteilnehmer, der TI21 noch nicht erreicht hat, aber auswertbare Daten hat, ist seit 14,8 Monaten transfusionsfrei.
 - Bei 39/56 (69,6 %) der behandelten Patientinnen und Patienten konnte die Eisenchelat-Therapie nach der Infusion mit CASGEVY® für mehr als sechs Monate gestoppt werden, wobei sich der Ferritin- und Lebereisengehalt nachhaltig verbesserte, was darauf schließen lässt, dass CASGEVY® das Potenzial hat, eine ineffektive Erythropoese zu korrigieren.
- Die Patientinnen und Patienten zeigen weiterhin stabile Werte für das fetale Hämoglobin (HbF) und die Allel-Editierung.
- Das Sicherheitsprofil von Exa-cel ist weiterhin im Allgemeinen konsistent mit der myeloablativen Konditionierung mit Busulfan und der autologen hämatopoetischen Stammzelltransplantation.

Fortschritte bei Verfügbarkeit von CASGEVY® für Patientinnen und Patienten

Durch entsprechende Erstattungsvereinbarungen konnte Vertex den Zugang zu Exa-cel für geeignete Patientinnen und Patienten mit SCD oder TDT in zahlreichen Ländern sichern, darunter Österreich, England, Wales, Nordirland, Schottland, die Vereinigten Staaten, das Königreich Saudi-Arabien, die Vereinigten Arabischen Emirate und Bahrain. Vertex arbeitet weiterhin mit Regierungs- und Erstattungsbehörden auf der ganzen Welt zusammen, um den nachhaltigen Zugang für weitere geeignete Patientinnen und Patienten zu sichern.

Über Sichelzellkrankheit (SCD)

SCD ist eine stark beeinträchtigende, fortschreitende und lebensverkürzende Krankheit. SCD-Patientinnen und -Patienten berichten von einer Lebensqualität, die weit unter der der Allgemeinbevölkerung liegt. Betroffene nehmen in erheblichem Maße Ressourcen des Gesundheitssystems in Anspruch. SCD ist eine vererbte Blutkrankheit, die die roten Blutzellen (Erythrozyten) betrifft, die für den Sauerstofftransport zu allen Organen und Geweben des Körpers verantwortlich sind. Die Sichelzellkrankheit verursacht starke Schmerzen, Organschäden und ist mit einer reduzierten Lebenserwartung assoziiert. Ein klinisches Kennzeichen der SCD sind sogenannte vasookklusive Krisen (VOCs), die durch Verstopfungen der Blutgefäße durch sichelartig verformte rote Blutzellen verursacht werden und die zu schweren und lähmenden Schmerzen führen, die überall im Körper zu jeder Zeit auftreten können. SCD erfordert eine lebenslange Behandlung und führt letztendlich zu einer verkürzten Lebenserwartung, verminderter Lebensqualität und geringerer Produktivität.

Über transfusionsabhängige Beta-Thalassämie (TDT)

TDT ist eine lebensbedrohliche, genetische Krankheit. Menschen mit TDT berichten von einer Lebensqualität, die unter der der Allgemeinbevölkerung liegt, und nehmen in erheblichem Maße Ressourcen des Gesundheitssystems in Anspruch. Die Betroffenen sind auf regelmäßige Bluttransfusionen angewiesen und benötigen eine lebenslange Behandlung, die Eisen bindet (die sogenannte Eisenchelat-Therapie). Eine Beta-Thalassämie betrifft vor allem die roten Blutzellen (Erythrozyten), die für den Sauerstofftransport zu allen Organen und Geweben des Körpers verantwortlich sind. Ein Mangel an roten Blutzellen, der auch als Anämie bezeichnet wird, ist die wichtigste Erscheinungsform der Erkrankung. Aufgrund dieser Anämie können Erkrankte unter Müdigkeit und Kurzatmigkeit leiden. Bei Kleinkindern können Gedeihstörungen und Gelbsucht auftreten. Zu den Komplikationen der Beta-Thalassämie können auch eine vergrößerte Milz, eine vergrößerte Leber und/oder ein vergrößertes Herz, missgebildete Knochen und eine verzögerte Pubertät gehören. TDT erfordert eine lebenslange Behandlung und führt letztendlich zu einer verkürzten Lebenserwartung, verminderter Lebensqualität und geringerer Produktivität.

Über CASGEVY®

Exagamglogene autotemcel (Exa-cel; Handelsname CASGEVY®) ist eine nicht-virale, *ex vivo*, auf CRISPR/Cas9-Geneditierung basierende Zelltherapie für geeignete Patientinnen und Patienten mit SCD oder TDT, bei der die Patienten-eigenen hämatopoetischen Stamm- und Vorläuferzellen in der erythroid-spezifischen Enhancer-Region des *BCL11A*-Gens durch einen präzisen Doppelstrangbruch editiert werden. Diese Editierung führt zu einer hohen Produktion von fetalem Hämoglobin (HbF; Hämoglobin F) in den roten Blutzellen. HbF ist die Form des sauerstofftransportierenden Hämoglobins, die während der fötalen Entwicklung von Natur aus vorhanden ist und nach der Geburt in die Erwachsenenform des Hämoglobins übergeht.

CASGEVY® reduziert oder eliminiert VOCs bei Patientinnen und Patienten mit SCD bzw. den Transfusionsbedarf bei Patientinnen und Patienten mit TDT.

Über die CLIMB-Studien

Die laufenden offenen Studien der Phase 1/2/3, CLIMB-111 und CLIMB-121, sollen die Sicherheit und Wirksamkeit einer Einzeldosis von CASGEVY® bei Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 35 Jahren mit TDT oder mit SCD und wiederkehrenden VOCs untersuchen. Die Studien sind für die Rekrutierung geschlossen. Jede Person wird gebeten, an der laufenden, offenen Langzeitstudie CLIMB-131 teilzunehmen. CLIMB-131 ist darauf ausgelegt, die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von CASGEVY® bei Patientinnen und Patienten zu untersuchen, die CASGEVY® erhalten haben, einschließlich derjenigen, die an anderen CLIMB-Studien teilgenommen haben. Die Studie ist so angelegt, dass die Patientinnen und Patienten bis zu 15 Jahre nach der CASGEVY®-Infusion beobachtet werden.

Über Vertex

Vertex ist ein weltweit tätiges Biotech-Unternehmen, das in wissenschaftliche Innovationen investiert, um wegweisende Medikamente für Menschen mit schweren Erkrankungen zu entwickeln. Das Unternehmen verfügt über zugelassene Therapien zur Behandlung der Ursache verschiedener chronischer, lebensverkürzender genetischer Erkrankungen – zystische Fibrose, Sichelzellerkrankung und transfusionsabhängige Beta-Thalassämie – und treibt klinische und Forschungsprogramme für diese Krankheiten weiter voran. Darüber hinaus verfügt Vertex über eine solide klinische Pipeline von Wirkstoffkandidaten mit verschiedenen Behandlungsmodalitäten bei anderen schweren Krankheiten, bei denen das Unternehmen ein tiefes Verständnis der kausalen Humanbiologie hat. Hierzu zählen akute und neuropathische Schmerzen, APOL1-assoziierte Nephropathie, IgA-Nephropathie, primäre membranöse Nephropathie, autosomal-dominante polyzystische Nierenerkrankung, Typ-1-Diabetes und myotone Dystrophie Typ 1.

Vertex wurde 1989 gegründet und hat seinen globalen Hauptsitz in Boston, Massachusetts, und seinen internationalen Hauptsitz in London, Großbritannien. Darüber hinaus verfügt das Unternehmen über Forschungs- und Entwicklungsstandorte sowie Niederlassungen in Nordamerika, Europa, Australien, Lateinamerika und im Mittleren Osten. Vertex wird immer wieder als einer der besten Arbeitgeber der Branche ausgezeichnet, darunter 15 Jahre in Folge auf der Top-Arbeitgeberliste des Wissenschaftsmagazins Science und als einer der 100 besten Arbeitgeber bei Fortune.

Um mehr über Vertex zu erfahren, besuchen Sie <https://www.vrtx.com/>

Pressekontakt

Vertex Pharmaceuticals (Austria) GmbH

Holger Bülow

Associate Director Corporate Communications

Handy: +49 170 4135 784

E-Mail: Holger_Buelow@vrtx.com

Haslinger, Keck. PR

Dr. Gabriele Heindl-Pullez

Geschäftsführende Gesellschafterin

Handy: +43 664 21 333 99

E-Mail: heindl@hk-kommunikation.at