

## Pressemitteilungen 2014

**08.01.2014**

[GerinnungsForum, Ausg. 4/2013](#)

Die neue Ausgabe des „GerinnungsForum“ ist ganz dem Thema „erworbener Faktor XIII-Mangel“ gewidmet.

**24.01.2014**

[Interlaken Leadership Award 2014](#)

Ab sofort können die Anträge für die neue Runde der Interlaken Leadership Awards eingereicht werden.

**28.02.2014**

[Engagement für die hepatologische Forschung](#)

Gustav Paumgartner Liver Research Fellowship ausgelobt.

**01.04.2014**

[CSL Behring feiert zehnjähriges Firmenjubiläum](#)

Eine Nachricht von Paul Perreault, CEO und Managing Director von CSL Behring.

**08.04.2014**

[GerinnungsForum, Ausg. 1/2014](#)

Die neue Ausgabe des „GerinnungsForum“ ist ganz dem Thema „Thrombose bei Zentralvenenkatheter“ gewidmet.

**22.07.2014**

[GerinnungsForum, Ausg. 2/2014](#)

Das neue Heft „GerinnungsForum“ widmet sich dem Thema von-Willebrand-Syndrom (vWS)

**17.09.2014**

[Avery-Landsteiner-Preis 2014](#)

Deutsche Gesellschaft für Immunologie verleiht Avery-Landsteiner-Preis für Immunologie an Andreas Radbruch, Direktor des Deutschen Rheuma-Forschungszentrums Berlin

**16.12.2014**

[CSL Behring reicht bei der FDA BLA-Zulassungsantrag für rekombinantes Fusionsprotein aus Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin \(rIX-FP\) ein – Anwendungsgebiet: Hämophilie B](#)

Weiterer Meilenstein in PROLONG-9FP erreicht, dem Entwicklungsprogramm des Unternehmens für ein rekombinantes Faktor-IX-Fusionsprotein

**16.12.2014**

[BLA-Zulassungsantrag für rekombinantes Fusionsprotein aus Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin \(rIX-FP\)](#)

CSL Behring unterstützt den internationalen Tag der Seltenen Krankheiten 2015 (Rare Disease Day).

## GerinnungsForum, Ausg. 4/2013

„GerinnungsForum“, Ausgabe 4/2013, zum Thema „erworbener Faktor XIII-Mangel“

Hattersheim — 08.01.2014

Die neue Ausgabe des „GerinnungsForum“ ist ganz dem Thema „erworbener Faktor XIII-Mangel“ gewidmet. Um das breite Spektrum des erworbenen F XIII-Mangels darzustellen, wird nicht nur ein Fallbeispiel, sondern zwei sehr unterschiedliche Kasuistiken präsentiert. Im ersten Fall handelt es sich um einen postoperativen Mangel auf dem Boden einer angeborenen Thrombozytopathie (Thrombasthenia Glanzmann).

Der zweite Fall wurde der Literatur entnommen und betrifft einen 65-jährigen Patienten mit einem Hemmkörper gegen F XIII, bei dem eine Immuntoleranztherapie analog wie bei Hemmkörperhämophilie durchgeführt wurde. Im Kommentar zum aktuellen Fall wird die Physiologie des F XIII dargestellt, außerdem die klinischen Zeichen und Risikofaktoren sowie die Besonderheiten der Diagnostik eines F XIII-Mangels beschrieben. Im Expertenforum werden diese Punkte weiter vertieft und besonders die Therapie des angeborenen und erworbenen F XIII-Mangels beschrieben.

Das Forum ist damit nicht nur für alle an F XIII interessierten Fachkreise geeignet, sondern bietet zusätzlich auch wichtige Neuerungen im DRG-Abrechnungssystem als Zusatznutzen. Durch richtige Beantwortung der CME-Fragen können online wieder bis zu 3 Punkte erreicht werden.

Weitere Informationen finden Sie unter [gerinnungsforum.net](http://gerinnungsforum.net)

## Interlaken Leadership Award 2014

[Jetzt für das globale Förderprogramm Interlaken Leadership Awards bewerben](#)

Hattersheim — 24.01.2014

Das globale Förderprogramm der Interlaken Leadership Awards geht in die neue Runde. Ab sofort können die neuen Teilnahmeanträge für 2014 eingereicht werden. Das von CSL Behring ins Leben gerufene Programm stellt Geld- und Sachstipendien bereit, um die medizinische Forschung zur Rolle der Immunglobuline bei der Behandlung neuroimmunologischer Erkrankungen zu unterstützen. Bisher haben die Interlaken Leadership Awards Stipendien in Höhe von über zwei Millionen US-Dollar vergeben.

Gefördert werden klinische Studien zur Behandlung neurologischer Erkrankungen mit polyvalenten Immunglobulinen sowie präklinische Studien, soweit dabei polyvalente Immunglobuline eingesetzt werden. Studien, in denen keine polyvalenten Immunglobuline zur Anwendung kommen (z.B. rein diagnostische oder epidemiologische Studien), stehen derzeit nicht im Fokus des Programms.



Bewerbungsfristen:

- Einreichung des "Letter of intent" bis 3. März 2014
- Einreichung des vollständigen Protokolls bis 14. April 2014

Weitere Informationen zum Preis, den Teilnahmebedingungen und zum Online-Bewerbungsverfahren finden Sie unter [InterlakenLeadershipAwards.com](http://InterlakenLeadershipAwards.com)

## Engagement für die hepatologische Forschung

### Gustav Paumgartner Liver Research Fellowship ausgelobt

Frankfurt a.M./Hattersheim — 28.02.2014

**Auf einem wissenschaftlichen Symposium, das am 15. November 2013 anlässlich des 80. Geburtstags von Prof. Dr. med. Gustav Paumgartner im Klinikum Großhadern der LMU in München stattfand, wurde der Gustav Paumgartner Liver Research Fellowship ausgelobt. Der unrestricted grant der Firmen CSL Behring und Dr. Falk Pharma unterstützt für drei Jahre die Forschung und Fortbildung auf dem Gebiet der Hepatologie. Der Namensgeber hat wie kaum ein anderer die klinisch orientierte hepatologische Forschung vorangetrieben und damit in seinem Fachgebiet weltweite Bedeutung erlangt.**

Wie Prof. Dr. med. Alexander L. Gerbes in seinen Worten zur Auslobung betonte, sind Lebererkrankungen in der Bevölkerung mehr und mehr zu einem wichtigen Gesundheitsproblem geworden. In Deutschland sind vier Millionen Menschen betroffen. Noch sehr viel höher ist die Dunkelziffer. Viele neue Diagnose- und Therapieverfahren sind in den letzten Jahren verfügbar geworden. Daraus ergibt sich ein zunehmender Bedarf an interdisziplinärer Betreuung, Aufklärung und Prophylaxe, praxisrelevanter Fortbildung und klinikorientierter Forschung.

Um diesem Bedarf gerecht zu werden, wurde in München im Jahr 2008 ein abteilungsübergreifendes Leberzentrum gegründet. Zu den Initiativen, die dort konzipiert wurden, gehören unter anderem die „Aktion Lebercheck“, an der sich auch Ärzte- und Apothekerkammern beteiligt haben, sowie Angebote zur Verbesserung einer praxisrelevanten hepatologischen Fortbildung für niedergelassene Ärzte.

Die Einrichtung einer neuen wissenschaftlichen Stelle soll jetzt der Intensivierung der Forschungsaktivitäten im Leber Centrum München® dienen. Der am 15. November 2013 ausgelobte Gustav Paumgartner Liver Research Fellowship ist ein flexibles Instrument, das Forschung und wissenschaftlich-praktische Ausbildung auf dem Gebiet der Hepatologie unterstützen soll. Die Förderung ist dank eines unrestricted grant der Firmen CSL Behring und Dr. Falk Pharma für drei Jahre gesichert. „Diese Unterstützung kann man in der heutigen Zeit der immer knapperen Ressourcen gar nicht hoch genug schätzen“, so Gerbes. Der Research Fellowship ist benannt nach Gustav Paumgartner, der in München die Fundamente für eine wissenschaftlich orientierte klinische Hepatologie mit internationalem Renommee gelegt hat. „Dass der Liver Research Fellowship diesen Namen trägt, ist für uns Ansporn, Aufgabe und Ausdruck der Reverenz für einen großen Forscher und Arzt“, erklärte Gerbes.

Wie Paumgartner selbst in seinem Festvortrag hervorhob, habe ihn in seiner langen Laufbahn das in der Medizin besonders ausgeprägte Spannungsfeld zwischen Theorie und Praxis immer beflügelt. In diesem Spannungsfeld hat Paumgartner eine Reihe von bahnbrechenden Entdeckungen im Bereich der Hepatologie, unter anderem zum Gallensäurenstoffwechsel gemacht, deren Anwendung später dem Patienten zu Gute gekommen ist.

Auch Dekan Prof. Dr. med. Maximilian Reiser unterstrich, dass sich Forschung und Arbeit am Patienten gegenseitig befruchten, und dass neue Ideen nur aus diesem Spannungsfeld entstehen können. „Dafür brauchen wir aber Muße, die wir immer weniger haben, da wir unter dem ständig zunehmenden Druck einer ungenügenden Hochschulfinanzierung stehen“, sagte

Reiser. Umso erfreulicher ist die Unterstützung durch den Liver Research Fellowship, der etwas Spielraum für dringend notwendige Forschung zurückgibt.



v.l.n.r. Prof. Maximilian Reiser, Dekan Med. Fakultät München, Dr. Alexander Brychzy, CSL Behring GmbH, Ursula Falk, Geschäftsführerin Dr. Falk Pharma GmbH, Prof. Gustav Paumgartner, Prof. Burkhard Göke, Leiter Medizinische Klinik II, Prof. Alexander L. Gerbes, Leiter Leber Centrum München®

### **Über CSL Behring**

CSL Behring ist führend im Bereich der Plasmaprotein-Biotherapeutika. Das Unternehmen setzt sich engagiert für die Behandlung seltener und schwerer Krankheiten sowie für die Verbesserung der Lebensqualität von Patienten auf der ganzen Welt ein. Das Unternehmen produziert und vertreibt weltweit eine breite Palette von plasmabasierten und rekombinanten Therapeutika.

Therapeutika von CSL Behring werden eingesetzt bei Störungen des Gerinnungssystems einschließlich Hämophilie und von Willebrand Syndrom, Immundefizienzkrankheiten sowie zur Behandlung von Patienten mit Hereditärem Angioödem, erblichem Lungenemphysem und neurologischen Störungen. Weitere Produkte finden Anwendung in der Herzchirurgie, bei Organtransplantationen sowie bei der Behandlung von Verbrennungen und in der Prävention von hämolytischen Krankheiten bei Neugeborenen. Mit seinem Tochterunternehmen CSL Plasma betreibt CSL Behring eine der weltweit größten Organisationen zur Gewinnung von Plasma.

Weitere Informationen finden Sie auf der Website [www.cslbehring.de](http://www.cslbehring.de)

Kontakt:

CSL Behring GmbH  
Dr. Alexander Brychzy  
Produktmanagement Haemostaseologie  
Tel.: + 49 (0) 69 305 1 70 51  
Fax: + 49 (0) 69 305 8 30 13  
E-Mail:  
Alexander.Brychzy@cslbehring.com

Agentur  
Ralf Steinmetz  
Haas & Health Partner Public Relations  
GmbH  
Tel.: +49 (0) 6123 – 70 57 39  
Fax: +49 (0)6123 – 70 57 57  
E-Mail: steinmetz@haas-health.de

## CSL Behring feiert zehnjähriges Firmenjubiläum

Eine Nachricht von Paul Perreault, CEO und Managing Director von CSL Behring

Hattersheim — 01.04.2014

Heute vor zehn Jahren haben sich CSL Limited und Aventis Behring zu CSL Behring zusammengeschlossen – ein Ereignis, das unser Unternehmen verändert hat.

Durch die Übernahme von Aventis Behring und durch die früher getätigten Übernahmen der Produktionsanlagen der Rotkreuzstiftung Zentrallaboratorium Blutspendedienst SRK (ZLB) sowie der Plasmaspendezentren von Nabi Biotherapeutics Inc., hat CSL Behring seinen Platz unter den führenden plasmabasierten Pharma-Unternehmen in der Welt gefestigt. Dieses Datum markierte den Beginn einer aufregenden, neuen Ära für unser Unternehmen. Die gebündelten Synergien haben es uns ermöglicht, ein vertikal integriertes, hoch spezialisiertes, globales Unternehmen aufzustellen und verschiedene strategische Vorteile zu verwirklichen.

Sie umfassen

- ein breites und konkurrenzfähiges Produktportfolio,
- ein erweitertes globales Profil mit kommerzieller Reichweite in Europa, den USA, Japan und anderen Märkten,
- eine breite Forschungs- und Entwicklungs-Pipeline mit Fokus auf dem Lebenszyklusmanagement,
- verbesserte Produktionseffizienz und Erträge,
- einen kosteneffizienten Prozess zur Plasmagewinnung und eine verbesserte Versorgungskette sowie
- verbesserte Produktionskapazitäten durch Verdopplung der Anzahl an Produktionsanlagen und Steigerung der Arbeitsleistung.

Diese Attribute haben wir kontinuierlich gestärkt und weiterentwickelt. Sie sind die Ecksteine unseres Wachstums und unseres Erfolgs. Heute ist CSL Behring gut aufgestellt, um weiterhin in neuen Märkten zu wachsen, mit neuen Produkten und Dienstleistungen sowie mit neuen Indikationen, während wie unser Geschäft weiterentwickeln, um den Bedürfnisse unserer Kunden nachzukommen.

Unser Jubiläum markiert zwar die Schaffung von CSL Behring durch den Zusammenschluss zweier Unternehmen, doch unser Erfolg wäre ohne die Teamarbeit, Entschlossenheit und Motivation der Mitarbeiter von CSL Behring nicht möglich gewesen. Ihnen gilt mein besonderer Dank.

Ich freue mich auf weitere Erfolge von CSL Behring und darauf, unsere Mission fortzuführen, lebensrettende und lebensverbessernde Medikamente für Patienten in der ganzen Welt herzustellen.

Mit freundlichen Grüßen

Paul Perreault  
CEO und Managing Director  
CSL Behring

## GerinnungsForum, Ausg. 1/2014

„GerinnungsForum“, Ausgabe 1/2014, zum Thema „Thrombose bei Zentralvenenkatheter“

Hattersheim — 08.04.2014

Die neue Ausgabe des „GerinnungsForum“ ist ganz dem Thema „Thrombose bei Zentralvenenkatheter“ gewidmet. Dies ist ein Punkt, der für viele Intensivmediziner von großer Bedeutung ist. Die Indikationen für die Anlage eines Zentralvenenkatheter sind in tabellarisch übersichtlich aufgelistet; sie werden zum Beispiel benötigt, wenn bei Schockzuständen große Volumina in kurzer Zeit oder Katecholamine appliziert werden müssen. Weitere Indikationen sind u. a. die Applikation Venenwand-schädigender Lösungen (z.B. Zytostatika), hochkalorische Ernährung mit Aminosäuren oder Glukose und Infusionen, die über einen längeren Zeitraum appliziert werden müssen. Auch zum Monitoring des zentralvenösen Drucks oder bei Hämodialyse sind Zentralvenenkatheter unverzichtbar.

Für das Gerinnungssystem sind die eingeführten Katheter-Materialien Fremdoberflächen, die über mehrere Mechanismen zur Aktivierung führen. Kommen patientenseitige Risikofaktoren wie Tumorerkrankungen oder Fehler bei der Gefäßpunktion hinzu, dann ist das Thromboserisiko nicht unbeträchtlich und liegt bei etwa 14 bis 18 Prozent. Da die Katheter meist längere Zeit im Körper verbleiben, ist als weiterer Risikofaktor die Infektionsgefahr zu nennen. Nach dem Fallbeispiel sind deswegen die beiden anderen Beiträge (Vertiefung zum aktuellen Fall und Expertenforum) versehen mit praktischen Hinweisen zum Management der Katheter und der dabei zu erwartenden Komplikationen.

Durch richtige Beantwortung der CME-Fragen können online wieder bis zu 3 Punkte erreicht werden.

Weitere Informationen finden Sie unter [gerinnungsforum.net](http://gerinnungsforum.net)



## GerinnungsForum, Ausg. 2/2014

„GerinnungsForum“, Ausgabe 2/2014, zum Thema „von-Willebrand-Syndrom (vWS)“

Hattersheim — 22.07.2014

Das neue Heft „GerinnungsForum“ widmet sich dem Thema von-Willebrand-Syndrom, das in der Klinik als primäre Hämostasestörung durch die üblichen Gerinnungsparameter nicht erfasst wird und deswegen oftmals unberücksichtigt bleibt.

Das zeigt auch das aktuelle Fallbeispiel, das eine schwer stillbare postpartale Blutung auf dem Boden eines trotz sorgfältiger Anamnese primär nicht erkannten vWS schildert. Das Beispiel zeigt: Bei der Diskrepanz zwischen Gerinnungsdiagnostik und klinischem Bild einer Blutung muss an eine primäre Gerinnungsstörung gedacht werden. Zur Erkennung eines von-Willebrand-Syndroms sind Spezialuntersuchungen erforderlich. Auch kann die Gerinnungsanamnese wegweisend sein.

Lesen Sie in der aktuellen Ausgabe mehr über die Diagnostik des vWS, die Funktion des von-Willebrand-Faktors und das therapeutische Management eines vWS.

Durch richtige Beantwortung der CME-Fragen können online wieder bis zu 3 Punkte erreicht werden.

Weitere Informationen finden Sie unter [gerinnungsforum.net](http://gerinnungsforum.net)

## Avery-Landsteiner-Preis 2014

Avery-Landsteiner-Preis für Immunologie geht an Andreas Radbruch, Direktor des Deutschen Rheuma-Forschungszentrums Berlin

Frankfurt a.M./Hattersheim — 17.09.2014

**Für seine bahnbrechenden Entdeckungen, die zu einem grundsätzlich neuen Verständnis des immunologischen Gedächtnisses geführt haben, verleiht die Deutsche Gesellschaft für Immunologie (DGfI) den Avery-Landsteiner-Preis 2014 an Professor Dr. rer. nat. Andreas Radbruch, Direktor des Deutschen Rheuma-Forschungszentrums Berlin. Der Preis wurde heute im Rahmen der Jahrestagung des DGfI in Bonn überreicht. Der von CSL Behring gesponserte Preis wird alle zwei Jahre an einen international herausragenden Immunologen vergeben und ist mit 10.000 Euro dotiert.**



v.l.n.r. Prof. Hans-Martin Jäck, DGfI, Prof. Andreas Radbruch, DRFZ, Dr. Peer Lotichius, CSL Behring

Der Avery-Landsteiner-Preis ist die angesehenste wissenschaftliche Auszeichnung, die von der Deutschen Gesellschaft für Immunologie verliehen wird,“ sagte Hans-Martin Jäck, Präsident der DGfI. „Die Deutsche Gesellschaft hat in der Vergangenheit international herausragende Immunologen damit geehrt, und es ist mir eine besondere Freude, den Avery-Landsteiner-Preis dieses Jahr an Prof. Andreas Radbruch, einen der wegweisenden deutschen Immunologen, vergeben zu können.

Bereits in den 80er Jahren fanden die Arbeiten von Andreas Radbruch über die Anpassung eines Antikörpers zur besseren Abwehr eines Erregers einer Infektion durch den sogenannten Immunglobulin-Klassenwechsel weltweite Beachtung. Weiterhin war er an der Entwicklung der magnetischen Zellsortierung, einer in der immunologischen Forschung grundlegenden Technologie zur schnellen Isolierung von Zellen, maßgeblich beteiligt.

Herausragend sind seine Forschungsarbeiten, die zu einem grundlegend neuen Verständnis des immunologischen Gedächtnisses geführt haben. Das immunologische Gedächtnis schützt

uns vor einer erneuten Infektion und bildet die Grundlage für eine erfolgreiche Schutzimpfung. Im Fall von chronisch-entzündlichen Krankheiten wie Rheuma oder entzündlichen Darmerkrankungen kann es aber zur Ausbildung eines „pathogenen“ immunologischen Gedächtnisses kommen. Dies treibt die chronische Entzündung wie ein Motor immer wieder an und führt dazu, dass körpereigene Strukturen analog zu Krankheitserregern angegriffen werden. Bahnbrechend in Prof. Radbruchs Forschung war die Entdeckung, dass langlebige „Gedächtniszellen“ (und hier vor allem Antikörper-produzierende Plasmazellen aber auch T-Helferzellen) in speziellen Nischen im Knochenmark überleben. Die Gedächtniszellen bilden die Grundlage dafür, dass das Immunsystem eine überwundene Krankheit nicht vergisst, tragen aber auch entscheidend dazu bei, dass z.B. bei vielen chronisch entzündlichen Erkrankungen konventionelle Therapien dauerhaft gegeben werden müssen und diese Erkrankungen bis heute noch nicht heilbar sind. Dieses grundsätzlich neue Verständnis des immunologischen Gedächtnisses und die Erforschung der Mechanismen, die die pathologischen Gedächtniszellen am Leben erhalten, eröffnen neue therapeutische Ansätze, nur das pathogene Gedächtnis und somit die ‚Erinnerung‘ an die schädliche Entzündung selektiv so zu zerstören, dass gleichzeitig das schützende Gedächtnis erhalten bleibt. Hierzu gibt es aktuell in Zusammenarbeit mit klinischen Partnern vielversprechende Studien.

Seit 1996 leitet Andreas Radbruch das Deutsche Rheuma-Forschungszentrum Berlin, ein Institut der Leibniz Gemeinschaft. Er ist Professor für Experimentelle Rheumatologie an der Charité Universitätsmedizin Berlin.

### **Über den Avery-Landsteiner-Preis**

Der Avery-Landsteiner-Preis ist nach zwei Wissenschaftlern benannt, die wichtige Beiträge zu unserem heutigen Verständnis der Immunologie geleistet haben. Dr. Oswald Avery, einer der weltweit ersten Molekularbiologen und ein Pionier in der Immunchemie, entdeckte DNA als die Erbinformation tragende Substanz von Genen und Chromosomen. Dr. Karl Landsteiner, der sowohl den Nobelpreis für Physiologie oder Medizin im Jahr 1930 als auch einen Lasker-Preis im Jahr 1946 erhielt, beschrieb das ABO-Blutgruppen-Antigen-System. Er ist als der „Vater der Transfusionsmedizin“ bekannt.

### **Über CSL Behring**

CSL Behring ist führender Hersteller von Plasmaderivaten. Das Unternehmen produziert und vermarktet weltweit zahlreiche plasmabasierte und rekombinante Therapeutika. Leben zu retten und die Lebensqualität für Menschen mit seltenen und schwerwiegenden Krankheiten zu verbessern, ist dabei vorrangiges Ziel. Die Therapeutika von CSL Behring sind angezeigt bei der Behandlung von Gerinnungsstörungen, darunter Hämophilie und von-Willebrand-Krankheit, primären Immundefekten, hereditärem Angioödem und vererbten Atemwegserkrankungen. Die Produkte des Unternehmens werden auch bei Herzoperationen, Organtransplantationen, Verbrennungen und bei der Vorbeugung gegen hämolytische Krankheiten bei Neugeborenen verwendet. CSL Behring betreibt eines der größten Plasmasammelnetzwerke der Welt, CSL Plasma. CSL Behring ist eine Tochtergesellschaft von CSL Limited (ASX:CSL), ein Biopharma-Unternehmen mit Sitz in Melbourne, Australien.

Weitere Informationen finden Sie unter [www.cslbehring.de](http://www.cslbehring.de)

Kontakt:

CSL Behring GmbH  
Dr. Peer Lotichius

Deutsche Gesellschaft für Immunologie  
Dr. Ulrike Meltzer  
DGfI – Geschäftsstelle

Philipp-Reis-Straße 2  
65795 Hattersheim  
Tel.: +49 (0) 69 – 305 – 40645  
Fax: +49 (0) 69 – 305 – 17129  
E-Mail: [Peer.Lotichius@cs Behring.com](mailto:Peer.Lotichius@cs Behring.com)

c/o DRFZ  
Charitéplatz 1  
10117 Berlin  
Tel.: +49 (0) 30 28460-648  
Fax: +49 (0) 30 28460-603  
E-Mail: [mail@dgfi.org](mailto:mail@dgfi.org)

## CSL Behring reicht bei der FDA BLA-Zulassungsantrag für rekombinantes Fusionsprotein aus Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin (rIX-FP) ein – Anwendungsgebiet: Hämophilie B

Hattersheim — 16.12.2014

CSL Behring hat bei der US-amerikanischen Aufsichtsbehörde FDA (Food and Drug Administration) einen Zulassungsantrag für biologische Wirkstoffe (BLA; Biologics License Application) für ein langwirksames Fusionsprotein gestellt, das aus rekombinatem Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin zusammengesetzt ist (rIX-FP). Wenn die FDA die Zulassung erteilt, werden Betroffene mit Hämophilie B und ihre Ärzte mit rIX-FP (Gerinnungsfaktor IX {rekombinant}, Albumin-Fusionsprotein) eine neue langwirksame Therapieoption mit Dosierungsintervallen von bis zu 14 Tagen zu ihrer Verfügung haben.

„Wie bei unserem letzten R&D-Investoren Briefing erwähnt, ist die Einreichung des BLA für rIX-FP bei der FDA ein großer Meilenstein für das rekombinante Gerinnungsfaktor-IX-Entwicklungsprogramm von CSL Behring; wir sind damit unserem Ziel, den Menschen in den USA diese innovative Therapie anbieten zu können, wieder einen Schritt näher gekommen“, sagte Dr. Andrew Cuthbertson, Chief Scientific Officer und R&D Director, CSL Limited. „Unsere enge Partnerschaft mit der Hämophilie-Community und ihr großer Einsatz waren unser Ausgangspunkt für die Entwicklung von rIX-FP mit dem neuartigen rekombinanten Albumin-Fusionsverfahren. Dieser Ansatz hat einen langwirksamen Wirkstoffkandidaten hervorgebracht, mit dem wir unsere Erfolgsgeschichte fortschreiben und einen weiteren Beitrag zum Wohlergehen von Menschen mit Gerinnungsstörungen und anderen seltenen Erkrankungen leisten werden.“

### Über das klinische Entwicklungsprogramm PROLONG-9FP

Der BLA-Zulassungsantrag von CSL Behring stützt sich auf die Phase II/III der Prolong-9FP-Studie (Patienten im Alter von 12 bis 61 Jahren). Diese Zulassungsstudie der Phase II/III ist eine unverblindete, multizentrische Studie zur Sicherheit, Pharmakokinetik (PK) und Wirksamkeit von rIX-FP bei vorbehandelten Patienten mit schwerer Hämophilie B (FIX  $\leq$  2 %).

Die Studie war darauf ausgelegt, Unterschiede in der Häufigkeit spontaner Blutungsereignisse zwischen Behandlung nach Bedarf (on demand) und einem wöchentlichen prophylaktischen Behandlungsschema bei Patienten zu vergleichen, die zuvor ausschließlich nach Bedarf behandelt worden waren; ein weiterer primärer Endpunkt war die Anzahl der Patienten, die Inhibitoren gegen Faktor IX entwickeln. Außerdem wurden in der Studie unterschiedliche Prophylaxeschemata verglichen, darunter 7- und 14-tägige Intervalle. In einer Substudie wurde auch die Prävention und Kontrolle von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B, die sich einer Operation unterziehen, untersucht.

Weitere Einzelheiten zum Aufbau der Studie zu rIX-FP (CSL654) finden Sie hier: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

### Über rIX-FP

CSL Behring hat rIX-FP mit dem Ziel konzipiert, die Halbwertszeit von rekombinatem Faktor IX durch genetische Fusion mit rekombinatem Albumin zu verlängern. Rekombinantes Albumin wurde von CSL Behring aufgrund seiner langen physiologischen Halbwertszeit als

rekombinanter genetischer Fusionspartner für das Gerinnungsfaktorprotein ausgewählt. Darüber hinaus besitzt rekombinantes Albumin nachweislich ein gutes Verträglichkeitsprofil, ein geringes Potenzial für immunogene Reaktionen sowie einen gut erforschten Clearance-Mechanismus. Der spaltbare Linker, mit dem der rekombinante Faktor IX und das rekombinante Albumin verknüpft sind, ist speziell darauf ausgelegt, die ursprüngliche Funktion des Gerinnungsfaktors im Fusionsprotein aufrechtzuerhalten und zugleich von der langen physiologischen Halbwertszeit des rekombinanten Albumins zu profitieren. 2012 vergab die FDA die Orphan Drug Designation (Einstufung als Arzneimittel für seltene Krankheiten) an rIX-FP zur Therapie und Prophylaxe von Blutungsepisoden bei Patienten mit Hämophilie B. Hiervon abgedeckt sind die routinemäßige Prophylaxe, Kontrolle und Prävention von Blutungsepisoden sowie die Prävention und Beherrschung von Blutungen im perioperativen Setting. Im Rahmen ihres Orphan Drug Designation-Programms vergibt die FDA den Status als Arzneimittel für seltene Krankheiten an einzigartige Wirkstoffe und Biologika, die zur sicheren und wirksamen Behandlung oder Prävention von seltenen Krankheiten bestimmt sind, von denen weniger als 200.000 Menschen in den USA betroffen sind.

### **Über Hämophilie B**

Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ist durch einen Mangel oder einen Defekt des Gerinnungsfaktors IX gekennzeichnet und tritt bei etwa 1 von 25.000 bis 50.000 Menschen auf. Hämophilie B ist eine erbliche Gerinnungsstörung, die sich in Form anhaltender oder spontaner Blutungen insbesondere in Muskeln, Gelenken und inneren Organen manifestiert. Sie tritt nahezu ausschließlich bei Männern auf.

### **Über CSL Behring**

CSL Behring ist führender Hersteller von Plasmaderivaten. Das Unternehmen produziert und vermarktet weltweit zahlreiche plasmabasierte und rekombinante Therapeutika. Leben zu retten und die Lebensqualität für Menschen mit seltenen und schwerwiegenden Krankheiten zu verbessern, ist dabei vorrangiges Ziel. Die Therapeutika von CSL Behring sind angezeigt bei der Behandlung von Gerinnungsstörungen, darunter Hämophilie und von-Willebrand-Krankheit, primären Immundefekten, hereditärem Angioödem und vererbten Atemwegserkrankungen. Die Produkte des Unternehmens werden auch bei Herzoperationen, Organtransplantationen, Verbrennungen und bei der Vorbeugung gegen hämolytische Krankheiten bei Neugeborenen verwendet. CSL Behring betreibt eines der größten Plasmasammelnetzwerke der Welt, CSL Plasma. CSL Behring ist eine Tochtergesellschaft von CSL Limited (ASX:CSL), ein Biopharma-Unternehmen mit Sitz in Melbourne, Australien.

Weitere Informationen finden Sie unter [www.cslbehring.de](http://www.cslbehring.de)

Kontakt:

Greg Healy

CSL Behring

Büro: 610-878-4841

Mobil: 610-906-4564

[Greg.Healy@cslbehring.com](mailto:Greg.Healy@cslbehring.com)

## BLA-Zulassungsantrag für rekombinantes Fusionsprotein aus Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin (rIX-FP)

Weiterer Meilenstein in PROLONG-9FP erreicht, dem Entwicklungsprogramm von CSL Behring für ein rekombinantes Faktor-IX-Fusionsprotein

Frankfurt a.M./Hattersheim — 16.12.2014

CSL Behring hat bei der US-amerikanischen Aufsichtsbehörde FDA (Food and Drug Administration) einen Zulassungsantrag für biologische Wirkstoffe (BLA; Biologics License Application) für ein langwirksames Fusionsprotein gestellt, das aus rekombinatem Gerinnungsfaktor IX und rekombinatem Albumin zusammengesetzt ist (rIX-FP). Wenn die FDA die Zulassung erteilt, werden Betroffene mit Hämophilie B und ihre Ärzte mit rIX-FP (Gerinnungsfaktor IX {rekombinant}, Albumin-Fusionsprotein) eine neue langwirksame Therapieoption mit Dosierungsintervallen von bis zu 14 Tagen zu ihrer Verfügung haben.

„Wie bei unserem letzten R&D-Investoren Briefing erwähnt, ist die Einreichung des BLA für rIX-FP bei der FDA ein großer Meilenstein für das rekombinante Gerinnungsfaktor-IX-Entwicklungsprogramm von CSL Behring; wir sind damit unserem Ziel, den Menschen in den USA diese innovative Therapie anbieten zu können, wieder einen Schritt näher gekommen“, sagte Dr. Andrew Cuthbertson, Chief Scientific Officer und R&D Director, CSL Limited. „Unsere enge Partnerschaft mit der Hämophilie-Community und ihr großer Einsatz waren unser Ausgangspunkt für die Entwicklung von rIX-FP mit dem neuartigen rekombinanten Albumin-Fusionsverfahren. Dieser Ansatz hat einen langwirksamen Wirkstoffkandidaten hervorgebracht, mit dem wir unsere Erfolgsgeschichte fortschreiben und einen weiteren Beitrag zum Wohlergehen von Menschen mit Gerinnungsstörungen und anderen seltenen Erkrankungen leisten werden.“

### Über das klinische Entwicklungsprogramm PROLONG-9FP

Der BLA-Zulassungsantrag von CSL Behring stützt sich auf die Phase II/III der Prolong-9FP-Studie (Patienten im Alter von 12 bis 61 Jahren). Diese Zulassungsstudie der Phase II/III ist eine unverblindete, multizentrische Studie zur Sicherheit, Pharmakokinetik (PK) und Wirksamkeit von rIX-FP bei vorbehandelten Patienten mit schwerer Hämophilie B (FIX  $\leq$  2 %).

Die Studie war darauf ausgelegt, Unterschiede in der Häufigkeit spontaner Blutungsereignisse zwischen Behandlung nach Bedarf (on demand) und einem wöchentlichen prophylaktischen Behandlungsschema bei Patienten zu vergleichen, die zuvor ausschließlich nach Bedarf behandelt worden waren; ein weiterer primärer Endpunkt war die Anzahl der Patienten, die Inhibitoren gegen Faktor IX entwickeln. Außerdem wurden in der Studie unterschiedliche Prophylaxeschemata verglichen, darunter 7- und 14-tägige Intervalle. In einer Substudie wurde auch die Prävention und Kontrolle von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B, die sich einer Operation unterziehen, untersucht.

Weitere Einzelheiten zum Aufbau der Studie zu rIX-FP (CSL654) finden Sie hier: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

## **Über rIX-FP**

CSL Behring hat rIX-FP mit dem Ziel konzipiert, die Halbwertszeit von rekombinantem Faktor IX durch genetische Fusion mit rekombinantem Albumin zu verlängern. Rekombinantes Albumin wurde von CSL Behring aufgrund seiner langen physiologischen Halbwertszeit als rekombinanter genetischer Fusionspartner für das Gerinnungsfaktorprotein ausgewählt. Darüber hinaus besitzt rekombinantes Albumin nachweislich ein gutes Verträglichkeitsprofil, ein geringes Potenzial für immunogene Reaktionen sowie einen gut erforschten Clearance-Mechanismus. Der spaltbare Linker, mit dem der rekombinante Faktor IX und das rekombinante Albumin verknüpft sind, ist speziell darauf ausgelegt, die ursprüngliche Funktion des Gerinnungsfaktors im Fusionsprotein aufrechtzuerhalten und zugleich von der langen physiologischen Halbwertszeit des rekombinanten Albumins zu profitieren.

2012 vergab die FDA die Orphan Drug Designation (Einstufung als Arzneimittel für seltene Krankheiten) an rIX-FP zur Therapie und Prophylaxe von Blutungsepisoden bei Patienten mit Hämophilie B. Hiervon abgedeckt sind die routinemäßige Prophylaxe, Kontrolle und Prävention von Blutungsepisoden sowie die Prävention und Beherrschung von Blutungen im perioperativen Setting. Im Rahmen ihres Orphan Drug Designation-Programms vergibt die FDA den Status als Arzneimittel für seltene Krankheiten an einzigartige Wirkstoffe und Biologika, die zur sicheren und wirksamen Behandlung oder Prävention von seltenen Krankheiten bestimmt sind, von denen weniger als 200.000 Menschen in den USA betroffen sind.

## **Über Hämophilie B**

Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ist durch einen Mangel oder einen Defekt des Gerinnungsfaktors IX gekennzeichnet und tritt bei etwa 1 von 25.000 bis 50.000 Menschen auf. Hämophilie B ist eine erbliche Gerinnungsstörung, die sich in Form anhaltender oder spontaner Blutungen insbesondere in Muskeln, Gelenken und inneren Organen manifestiert. Sie tritt nahezu ausschließlich bei Männern auf.

## **Über CSL Behring**

CSL Behring ist führender Hersteller von Plasmaderivaten. Das Unternehmen produziert und vermarktet weltweit zahlreiche plasmabasierte und rekombinante Therapeutika. Leben zu retten und die Lebensqualität für Menschen mit seltenen und schwerwiegenden Krankheiten zu verbessern, ist dabei vorrangiges Ziel. Die Therapeutika von CSL Behring sind angezeigt bei der Behandlung von Gerinnungsstörungen, darunter Hämophilie und von-Willebrand-Krankheit, primären Immundefekten, hereditärem Angioödem und vererbten Atemwegserkrankungen. Die Produkte des Unternehmens werden auch bei Herzoperationen, Organtransplantationen, Verbrennungen und bei der Vorbeugung gegen hämolytische Krankheiten bei Neugeborenen verwendet. CSL Behring betreibt eines der größten Plasmasammelnetzwerke der Welt, CSL Plasma. CSL Behring ist eine Tochtergesellschaft von CSL Limited (ASX:CSL), ein Biopharma-Unternehmen mit Sitz in Melbourne, Australien.

Weitere Informationen finden Sie unter [www.cslbehring.de](http://www.cslbehring.de)

Kontakt:

Greg Healy  
CSL Behring  
Büro: 610-878-4841  
Mobil: 610-906-4564  
Greg.Healy@cslbehring.com