



## **bluebird bio startet in Deutschland mit der weltweit ersten Markteinführung der Gentherapie Zynteglo™ (autologe CD34<sup>+</sup>-Zellen, die für das $\beta^{\text{A-T87Q}}$ -Globin-Gen kodieren)**

*Zynteglo greift an der genetischen Ursache der transfusionsabhängigen  $\beta$ -Thalassämie (TDT) an und bietet bestimmten Patienten ab 12 Jahren die Chance, potenziell lebenslang unabhängig von Bluttransfusionen zu werden.*

*Die Behandlung mit der Gentherapie kann ab jetzt am Universitätsklinikum Heidelberg, dem ersten qualifizierten Behandlungszentrum, stattfinden.*

*bluebird bio und die AOK Rheinland/Hamburg vereinbaren ein innovatives, erfolgsabhängiges Vergütungsmodell für die Erstattung von Zynteglo.*

München — 13. Januar 2020 — In Deutschland ist ab sofort die Behandlung einer Form der seltenen Erbkrankheit transfusionsabhängige  $\beta$ -Thalassämie (TDT) mit der neu entwickelten Gentherapie Zynteglo von bluebird bio möglich. Deutschland ist damit das erste Land, in dem diese Behandlung für Patienten zur Verfügung steht. Hierbei handelt es sich um die erste zugelassene Gentherapie für TDT-Patienten ab einem Alter von 12 Jahren, die keinen  $\beta^0/\beta^0$ -Genotyp haben, und die für eine hämatopoetische Stammzellen (HSZ)-Transplantation geeignet sind, für die aber kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht.

„Die transfusionsabhängige Thalassämie stellt eine enorme Belastung für betroffene Patienten dar. Neben gesundheitlichen Einschränkungen durch die Erkrankung selbst benötigen die Patienten lebenslang alle 3-4 Wochen Bluttransfusionen. Zusätzlich ist eine Behandlung zur Ausscheidung von überschüssigem Eisen erforderlich, das ansonsten die Funktion von Herz, Leber und hormonproduzierenden Geweben kritisch bedroht. Diese Krankheit reduziert daher die Lebenserwartung und führt zu einer erheblichen Belastung der alltäglichen Lebensqualität des Patienten und der betroffenen Familie“, sagt Prof. Dr. Andreas Kulozik, Ärztlicher Direktor am Universitätsklinikum Heidelberg und Direktor des klinischen Programmes am Hopp-Kindertumorzentrum Heidelberg (KITZ).

Während die Transfusionstherapie die Symptome behandelt, setzt die Gentherapie an der genetischen Ursache der Erkrankung an. „Die Einführung von Zynteglo auf dem deutschen Markt stellt den Beginn einer Zeitenwende für Patienten mit TDT und ihre Angehörigen dar: TDT-Patienten haben jetzt die Chance, durch eine einmalige Behandlung potenziell lebenslang transfusionsunabhängig zu werden“, sagt Susanne Digel, General Manager bluebird bio (Germany) GmbH.

Die Behandlung mit der Gentherapie wird in Deutschland zunächst am Universitätsklinikum Heidelberg, dem ersten von drei geplanten qualifizierten Behandlungszentren, durchgeführt. Bei TDT handelt es sich um eine seltene Erbkrankheit, und aufgrund der eng definierten Indikation kommt nur eine kleine Anzahl von Patienten für die Behandlung in Frage. Der Fokus auf wenige qualifizierte Behandlungszentren erlaubt die Konzentration von geringen Fallzahlen und damit einhergehend die Qualitätssicherung und Routine in den Zentren. „Für eine optimale Versorgung der Patienten ist es enorm wichtig, dass wir in einem engen Netzwerk von qualifizierten Behandlungszentren mit den Thalassämie behandelnden Ärzten in



Krankenhäusern und im niedergelassenen Bereich zusammenarbeiten“, so Susanne Digel. Auch die Herstellung der für jeden Patienten individuell maßgeschneiderten Gentherapie erfolgt in Kooperation mit einem Partner in Deutschland, dem Münchener Biotechnologieunternehmen apceth Biopharma GmbH.

Mit der Markteinführung wurde auch das Dossier zur frühen Nutzenbewertung für Zynteglo beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) eingereicht. Darüber hinaus haben die AOK Rheinland/Hamburg und bluebird bio ein innovatives und erfolgsabhängiges Vergütungsmodell (Pay for Performance) vereinbart, das sich über einen Zeitraum von 4 Jahren erstreckt. Mit Beginn der Behandlung wird eine feste Initialrate des Gesamtpreises fällig. Die vier restlichen Teilzahlungen sind nur dann zu begleichen, wenn der Therapieerfolg der Transfusionsfreiheit erreicht wird und dauerhaft erhalten bleibt. „Die AOK Rheinland/Hamburg setzt sich im Sinne ihrer Versicherten nachhaltig für die Verbesserung der Qualität und Sicherheit von Arzneimitteln auch im Bereich der Gentherapien ein. Der Vertrag mit bluebird bio stellt einen weiteren wichtigen Schritt dar, das bewährte Versorgungsangebot der AOK Rheinland/Hamburg für seltene Erkrankungen qualitätsorientiert und mit einem hohen Nutzen für die Patientinnen und Patienten zu ergänzen“, sagt Dr. Simon Loeser, Unternehmensbereichsleiter Stationäre Versorgung der AOK Rheinland/Hamburg.

Beim Kongress der American Society of Hematology im Dezember 2019 wurden außerdem wichtige neue Langzeitergebnisse der zulassungsrelevanten Studien von LentiGlobin in TDT vorgestellt.

### **Über bluebird bio, Inc.**

bluebird bio ist wegweisend im Bereich der Gentherapie.

Wir entwickeln Gentherapien für schwerwiegende genetische Erkrankungen und Krebs. Unser Hauptsitz ist in Cambridge, Massachusetts, USA. Unser Ziel ist es, dass Menschen mit potenziell lebensbedrohlichen Erkrankungen und begrenzten Behandlungsmöglichkeiten ein erfülltes Leben führen können. Neben unserer wissenschaftlichen Arbeit in den Laboren suchen wir auch neue Wege in der Gesundheitsversorgung, um im Sinne der Patienten Lösungen zu schaffen. Wir möchten Zugang zu Therapien, Transparenz und Aufklärung schaffen, um zugelassene Gentherapien für all diejenigen verfügbar zu machen, die davon profitieren können.

Für bluebird bio steht der Mensch an erster Stelle. Wir setzen unsere Sorgfalt und Expertise dafür ein, um die zerebrale Adrenoleukodystrophie (CALD), Sichelzellkrankheit (SCD),  $\beta$ -Thalassämie und das multiple Myelom unter Verwendung von drei Gentherapietechnologien zu erforschen: Gen-Addition, Zelltherapie und (megaTAL-aktivierte) Gen-Editierung.

bluebird bios europäischer Hauptsitz befindet sich in Zug, Schweiz. Die deutsche Niederlassung ist in München. Daneben hat bluebird bio zusätzliche Niederlassungen in Europa (Frankreich, Italien, Großbritannien und den Niederlanden) sowie in den USA.

Zynteglo, LentiGlobin und Lenti-D sind Marken von bluebird bio.



Die vollständige Bezeichnung für Zynteglo ist: Eine genetisch veränderte autologe, mit CD34<sup>+</sup>-Zellen angereicherte Population, die hämatopoetische Stammzellen enthält, die mit einem lentiviralen Vektor transduziert wurden, der das  $\beta^{A-T87Q}$ -Globin-Gen kodiert.

###

bluebird bio

Investoren:

Elizabeth Pingpank, +1-617-914-8736

[epingpank@bluebirdbio.com](mailto:epingpank@bluebirdbio.com)

oder

Presse:

Claudia Nabaie, +41-79-906-5814

[cnabaie@bluebirdbio.com](mailto:cnabaie@bluebirdbio.com)