

Dorothea Küsters Life Science Communications entwickelt Launchkampagne für „Translarna“

Turbo-Launch für Ultra Orphan Drug

In nur knapp vier Monaten zwischen der Marktzulassung in der Europäischen Union und der Einführung des Ultra Orphan Drug „Translarna“ (Wirkstoff: Ataluren) auf dem deutschen Markt am 1. Dezember 2014 hat die Frankfurter Healthcare-PR-Agentur Dorothea Küsters Life Science Communications ein Kommunikationskonzept entwickelt und umgesetzt, das bei den relevanten Fachzielgruppen Awareness für die Indikation Duchenne-Muskeldystrophie mit Nonsense-Mutation (nmDMD) schuf und sie über die erste zugelassene Therapieoption überhaupt aufklärte.

>> Die Duchenne-Muskeldystrophie mit Nonsense-Mutation (nmDMD) ist ein „Ultra Orphan Disease“. Experten gehen in Deutschland von etwa 320 Patienten aus, was auf die Gesamtbevölkerung bezogen bedeutet, dass auf rund 246.000 Menschen ein nmDMD-Erkrankter kommt.

Wie bei den anderen Formen der DMD führt auch bei der nmDMD eine Genmutation zum Fehlen oder zu einem Defekt des Muskelproteins Dystrophin, das eine entscheidende Rolle für die strukturelle Stabilität der Skelett-, Zwerchfell- und Herzmuskulatur spielt. Wegen der rezessiven Vererbung der Genmutation auf dem X-Chromosom sind von einer DMD fast ausschließlich Jungen betroffen, erste Krankheitssymptome zeigen sich meist schon im Vorschulalter in Form einer Schwäche der Beinmuskulatur. Weil Muskelfasern zunehmend durch Bindegewebe und Fettgewebe ersetzt werden, verlieren die Patienten häufig schon im Teenageralter ihre Gehfähigkeit, gleichzeitig kommt es durch den Muskelschwund zu lebensbedrohlichen Atmungs- und Herzkomplicationen, die in den meisten Fällen zwischen dem zwanzigsten und dreißigsten Lebensjahr zum Tod der Patienten führen.

Man schätzt, dass bei circa 13 Prozent der Patienten eine Nonsense-Mutation die Ursache für die DMD ist. Die Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen der DNA verursacht in der Matrize für die Proteinsynthese ein sogenanntes zusätzliches Stopp-Codon, was zu einem verfrühten Abbruch der

Dystrophin-Produktion führt. Die Folge ist ein unvollständiges und somit funktionsunfähiges Protein.

Das US-amerikanische Unternehmen PTC Therapeutics hat mit dem Wirkstoff Ataluren nun erstmals ein Arzneimittel entwickelt, das einen kausalen Wirkansatz verfolgt, also nicht nur symptomatisch wirkt, sondern direkt an der Krankheitsursache der nmDMD angreift.

Das Produkt wirkt wie eine „Tarnkappe“, die sich über das zusätzliche Stopp-Codon setzt. Dadurch kann die genetische Information wieder abgelesen und Dystrophin produziert werden.

Großer Medical Need

Vor dem Hintergrund des dramatischen Krankheitsverlaufs identifizierte die Europäische Zulassungsbehörde den hohen Medical Need, schnellstmöglich eine Therapieoption zur Behandlung der nmDMD zu ermöglichen. Deshalb

erteilte sie vorzeitig Anfang August 2014 eine „bedingte Zulassung“ für „Translarna“: Dies erlaubt dem Hersteller, die für alle Pharmaunternehmen obligate Durchführung einer Phase-III-Studie (zur Bestätigung bisher vorliegender Phase-IIb-Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit) abzuschließen, während parallel schon das dringend benötigte Produkt im Markt angeboten wird.

Kurz nach der bedingten Zulassung kontaktierte Dr. med. Guido Schopen, Geschäftsführer der PTC Therapeutics Germany GmbH und General Manager der D-A-CH-Region, die PR-Agentur Dorothea Küsters Life Science Communications und beauftragte sie, anlässlich des Conditional Approvals eine Pressekonferenz zu organisieren. „Entscheidend bei der Agenturauswahl waren für mich die vorhandenen Erfahrungen in der Kommunikation zu Orphan Drugs sowie die große medizinische Expertise,

die angesichts des erklärungsbedürftigen Produkts unverzichtbar war“, so Schopen.

Am Anfang der Zusammenarbeit habe eine ganz grundsätzliche Frage gestanden, berichtet die Agenturinhaberin Dorothea Küsters: „Können wir es überhaupt vertreten, eine Pressekonferenz zu einem Orphan Drug durchzuführen? Können wir eine Teilnehmerzahl erreichen, die der Erwartungshaltung des Kunden und der Referenten entspricht?“

Erfolgreicher Auftritt

Die „interessante Konstellation“ mehrerer Faktoren sprach dafür, wie Director Bettina Sieber sagt: „Der Wirkmechanismus ist eine absolute Neuheit, und welcher Fachjournalist hat schon einmal von einem ‚Conditional Approval‘ oder von einer Nonsense-Mutation gehört? Zudem sorgt die Tatsache, dass Kinder betroffen sind, für einen sehr emotionalen Aspekt und damit für mehr



Translarna™
(ataluren)

Klinische Evidenz
Erste zugelassene, kausale Therapie der Duchenne-Muskeldystrophie mit Nonsense-Mutation (nmDMD) bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren¹⁻⁴

translarna
ataluren

Translarna™ (ataluren)
Erste kausale Therapie bei nmDMD

Innovativer Wirkmechanismus
Ataluren überliert Stopp-Codons bei der Proteinbiosynthese und führt zu funktionsfähigem Dystrophin.^{1,4}



Ärztefolder, Patientenbroschüre, Dosierungskarte und Dosierungsanleitung für Patienten wurden auf Basis eines englischsprachigen Slide-Kits innerhalb von vier Wochen druckfertig erstellt.

Aufmerksamkeit.“ Hinzu kam, dass Mitte September die „Neurowoche“, der wichtigste Kongress für Neurologen und Neuropädiater und damit die ideale Veranstaltung für die Durchführung einer Pressekonferenz zu „Translarna“, stattfand.

In nur rund drei Wochen stellte die Agentur die Pressekonferenz auf die Beine, was nicht nur die Suche nach einem geeigneten Raum in direkter räumlicher Nähe des Kongresses und die Rekrutierung von Meinungsbildnern als Referenten beinhaltete, sondern es mussten auch die kompletten Presseunterlagen erstellt werden. „Wir hatten zwar ein Slide-Kit in Englisch zur Verfügung, mussten die komplexen Aussagen aber noch in merkfähige, medizinisch relevante Botschaften übersetzen, die dann auch in alle Texte einfließen“, so Sieber. Auch die Tatsache der bedingten Zulassung wie auch die Studienendpunkte – der primäre Endpunkt war die „six-minute walk distance“, also die Entfernung, die ein Patient in sechs Minuten zurücklegt – waren erklärungsbedürftig. Wichtig war die Pressekonferenz aber noch aus einem anderen Grund: Sie war der erste Auftritt des Unternehmens PTC Therapeutics in Deutschland und damit sehr bedeutsam für die Imagebildung.

Die Pressekonferenz erwies sich als voller Erfolg. Einen Monat nach der Veranstaltung konnte die Agentur ihren Kunden wöchentlich mit neuen Clippings aus den relevanten Fachzeitschriften versorgen,

was eindeutig dafür sprach, dass der angestrebte Noise Level in der Verordnergruppe erreicht wurde. Bei einer Sitzung des Advisory Boards bekam Schopen zudem auch von den versammelten Experten die breite Berichterstattung zu „Translarna“ positiv widergespiegelt, sein Unternehmen konnte sich auf diese Weise also auch bei den Key Opinion Leaders im Bereich Neuropädiatrie profilieren.

Schnelle Einführung

Um das Produkt nach EU-Zulassung schnellstmöglich Patienten zur Verfügung stellen zu können, hatte Schopen das Ziel formuliert, alle für die Produkteinführung relevanten Maßnahmen bis zum 1. Dezember 2014 abgeschlossen zu haben. Dazu mussten innerhalb von 4 Monaten u. a. die GmbH gegründet, ein Büro etabliert, eine Organisation aufgebaut, ein AMNOG-Dossier erstellt und parallel dazu die bisher kaum stattgefundenene Kommunikation initiiert werden. Für den Bereich Kommunikation beauftragte PTC Germany die Agentur damit, neben den PR-Aktivitäten innerhalb von vier Wochen aussagekräftige Unterlagen für Ärzte und Patienten zu entwickeln.

Kernstück ist der Arztfolder, der etwas umfangreicher ist als üblich, was in diesem Fall aber absolut notwendig war, wie Sieber sagt: „Es war uns sehr wichtig, den Ärzten den innovativen Therapieansatz wie auch die außerhalb von Expertenkreisen



43 redaktionelle Fachveröffentlichungen in nur 4 Monaten erzeugten einen hohen Noise Level.

nicht so bekannten Studienendpunkte genau zu erklären.“ Weil die Dosierung des Präparats komplex ist – pro Kilogramm Körpergewicht müssen 40 Milligramm pro Tag eingenommen werden – wurde zudem eine Dosierungskarte entwickelt.

Analog dazu gibt es auch einen Aufsteller für die Patienten und/oder deren Eltern mit verschiedenen Dosierungskarten, die die für das jeweilige Körpergewicht erforderliche Dosierungsangabe zeigen. Zur Information und Schulung der Patienten wurde eine „Translarna“-gebrandete Broschüre erstellt, die ausschließlich über den Arzt abgegeben wird. Pünktlich zum „Translarna“-Launch am 1. Dezember wurden dann die ersten Informationspakete an die Fachärzte verschickt.

Erfolgreiche Kommunikation

Die Agentur wie auch ihr Kunde sind höchst zufrieden mit der Aufmerksamkeit, die sie in nur vier Monaten zwischen bedingter Zulassung und Markteinführung erzielen konnten: Bisher sind 43 Artikel mit einer Gesamtauflage von über 2,5 Millionen zu „Translarna“ in Fachmedien erschienen. Dabei wurden 70 Prozent der neurologischen und neuropädiatrischen sowie 50 Prozent der pädiatrischen Fachmedien abgedeckt. Zudem wurde in den wichtigsten pharmazeutischen Fachmedien über das innovative Produkt berichtet.

Aus Sicht der Agentur dürfte zudem erfreulich sein, dass die für Deutschland entwickelten Marketingunterlagen nun auch für Markteinführungen in anderen Märkten berücksichtigt und adaptiert werden sollen. Und ein weiteres Indiz für den Erfolg der Kommunikation: 24 Stunden nach Ausbietung und Information der Fachkreise wurde „Translarna“ bereits zum ersten Mal verordnet. <<<

KEYFACTS

>> **DAS PRODUKT**
„Translarna“ (Wirkstoff: Ataluren) ist ein Produkt von PTC Therapeutics zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie mit Nonsense-Mutation (nmDMD).

>> **AUFGABE & ZIEL**
Erzeugung von Awareness und eines maximalen Noise Levels für die Erkrankung und das neue Arzneimittel bei Neurologen und Neuropädiatern.

>> **DIE UMSETZUNG**
Zur Schaffung von Awareness setzte die Agentur auf die Vermittlung vertiefender Informationen über die Erkrankung und die neue Therapieoption. Die Einbindung renommierter KOLs und eine breite Präsenz in den relevanten Fachmedien war deshalb aus Sicht der Agentur entscheidend.

>> **DIE AGENTUR**
Dorothea Küsters Life Science Communications, Frankfurt/Main
www.dkcommunications.de



„Translarna“-gebrandete Patientenbroschüre, die ausschließlich vom Arzt an die Betroffenen abgegeben wird.