

ASX-Mitteilung  
Dezember 2020

---

## **Europäische Kommission gewährt Zulassung für ATL1102 als Orphan-Arzneimittel in der Behandlung von DMD**

- **Kommission gewährt Zulassung als Orphan-Arzneimittel (ODD);**
- **10 Jahre Marktexklusivität nach Zulassung durch Regulierungsbehörde;**
- **weitere zwei Jahre Exklusivität nach Zulassung für pädiatrische Zwecke;**

Antisense Therapeutics Limited [ASX:ANP | US OTC:ATHJ | FWB:AWY] (das Unternehmen) freut sich bekannt zu geben, dass es von der Europäischen Kommission über die Entscheidung informiert wurde, ATL1102 gemäß der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates als Orphan-Arzneimittel für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zuzulassen.

Die Zulassung als Orphan-Arzneimittel (ODD) wurde von der Europäischen Kommission auf Basis einer positiven Stellungnahme des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Krankheiten (COMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) im November 2020 erteilt. Sie folgt auf die vor kurzem erteilte Zulassung von ATL1102 als Orphan-Arzneimittel sowie als Arzneimittel für seltene pädiatrische Erkrankungen zur Behandlung von DMD durch die US-Arzneimittelzulassungsbehörde (US Food and Drug Administration).

Die Ausweisung als Orphan-Arzneimittel in der EU bringt Entwicklungs- und Vermarktungsanreize mit sich, wie etwa geringere Gebühren für die wissenschaftliche Beratung und Zulassungsanträge sowie eine Marktexklusivität in Europa für einen Zeitraum von 10 Jahren nach Zulassung von ATL1102 mit einer zusätzlichen zweijährigen Exklusivität für die pädiatrische Anwendung bei DMD. Während dieses Exklusivitätszeitraums dürfen weder die EU noch die Mitgliedstaaten einen anderen Zulassungsantrag für ein ähnliches Arzneimittel in derselben therapeutischen Indikation annehmen.

Mark Diamond, Geschäftsführer und CEO von ANP, erklärt: „Wir sind sehr zufrieden, dass die Europäische Kommission den Beschluss über die Zulassung von ATL1102 als Orphan-Arzneimittel bei DMD in der EU gefasst hat. Wir haben nun erfolgreich den Status als Orphan-Arzneimittel in Europa sowie als Orphan-Arzneimittel und Arzneimittel für seltene pädiatrische Erkrankungen in den USA erreicht; beide sind die wichtigsten Pharmamärkte der Welt. Wir erwarten uns aufgrund der von solchen Zulassungen ausgehenden Anreize, wie etwa Exklusivitätszeiträume für die Vermarktung, einen enormen wirtschaftlichen Wert, vorausgesetzt, die Entwicklung von ATL1102 schreitet erfolgreich voran und wir erhalten letztendlich eine Marktzulassung.“

*Diese Mitteilung wurde vom Board des Unternehmens zur Veröffentlichung freigegeben.*

### **Nähere Informationen erhalten Sie über:**

#### **Antisense Therapeutics**

Mark Diamond  
Geschäftsführer  
+61 (0)3 9827 8999  
[www.antisense.com.au](http://www.antisense.com.au)

#### **Anfragen von Investoren**

Gennadi Koutchin  
XEC Partners  
[gkoutchin@xecpartners.com.au](mailto:gkoutchin@xecpartners.com.au)  
1300 932 037

**Über Antisense Therapeutics Limited** (ASX:ANP | US OTC:ATHJY) ist ein börsennotiertes australisches Biotechnologieunternehmen, das auf die Entwicklung und Vermarktung von Antisense-Pharmaka zur Behandlung von seltenen Erkrankungen in großen Märkten mit einem unerfüllten Bedarf spezialisiert ist. Die Produkte wurden in Lizenz von der Firma Ionis Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ: IONS), einem etablierten Marktführer in der Entwicklung von Antisense-Medikamenten, erworben. Das Unternehmen widmet sich derzeit der Entwicklung von ATL1102, einem Antisense-Inhibitor des CD49d-Rezeptors, der zur Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) verwendet wird und zuletzt äußerst vielversprechende Ergebnisse im Rahmen einer Phase-II-Studie lieferte. ATL1102 hat zudem erfolgreich eine Phase-II-Studie zur Wirksamkeit und Sicherheit absolviert und die Anzahl von Gehirnläsionen bei Patienten mit schubförmig remittierender Multipler Sklerose (RRMS) signifikant verringert. Das Unternehmen verfügt darüber hinaus über ein zweites Arzneimittel, ATL1103, das auf die Blockierung der Produktion des Somatotropin-Rezeptors (GHR) abzielt und im Rahmen von klinischen Phase-II-Studien bei Patienten mit Akromegalie, einer Wachstumsstörung, zur Herabsetzung der IGF-I-Konzentration im Blut geführt hat.

**Über ATL1102.** ATL1102 ist ein Antisense-Inhibitor von CD49d, einer Untereinheit von VLA-4 (Very Late Antigen-4). Die Antisense-Hemmung der VLA-4-Expression konnte in einer Reihe von Tiermodellen mit Entzündungskrankheiten, einschließlich Asthma und MS, nachgewiesen werden; die Daten zu MS im Tiermodell wurden in einer wissenschaftlichen Fachzeitschrift mit Peer Review veröffentlicht. ATL1102 hat sich in einer klinischen Phase-IIa-Studie an Patienten mit schubförmig remittierender MS (RR-MS) als hoch wirksam im Hinblick auf die Reduktion von MS-Läsionen erwiesen. Das Datenmaterial aus der klinischen Phase-IIa-Studie zu ATL1102 wurde in der medizinischen Fachzeitschrift **Neurology** (Limmroth, V. et al, Neurology, 2014; 83(20): 1780-1788) veröffentlicht.

**Über die Studie zu ATL1102 bei DMD.** Die klinische Phase-II-Studie zu ATL1102 bei Patienten mit einer Duchenne-Muskeldystrophie war als sechsmonatige Open-Label-Dosisfindungsstudie angelegt. Neun nicht mehr gehfähigen Patienten mit DMD im Alter zwischen 10 und 18 Jahren wurde ATL1102 in einer Dosierung von 25 mg pro Woche subkutan verabreicht. Die Studie wurde im Neuromuskulären Zentrum des Royal Children's Hospital (RCH) in Melbourne (Australien) durchgeführt. Die primären Endpunkte der Studie waren die Sicherheit und Verträglichkeit von ATL1102. Die Wirksamkeit von ATL1102 wurde ebenfalls im Hinblick auf die Auswirkungen auf Krankheitsverlauf und Progredienz bewertet (z.B. Stärke und Funktion der oberen Extremitäten bei Knaben). Angesichts des explorativen Charakters dieser ersten Studie an Knaben mit DMD war sie nicht auf einen statistischen Unterschied bei diesen Endpunkten der Krankheitsprogression ausgerichtet, der in zukünftigen längerfristigen klinischen Studien mit einer größeren Anzahl von Patienten zu erwarten wäre. Allerdings waren in dieser klinischen Phase-II-Studie sehr vielversprechende positive Trends bei mehreren Parametern zu beobachten. Weitere Einzelheiten zur Studie finden Sie [hier](#) im klinischen Studienregister für Australien und Neuseeland.

**Über DMD.** Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine X-chromosomal vererbte Erkrankung, die in einer Häufigkeit von 1 : 3600 bis 1 : 6000 vor allem bei männlichen Lebendgeburten auftritt (Bushby *et al.*, 2010). DMD entsteht infolge einer Mutation im Dystrophin-Gen, die zu einer stark reduzierten Bildung bzw. zu einem Mangel des Proteins Dystrophin führt. Kinder, die an einer Duchenne-Muskeldystrophie leiden, haben Dystrophin-defiziente Muskeln und sind anfällig für kontraktionsbedingte Verletzungen des Muskels, die eine Immunreaktion auslösen. Diese wiederum führt zu einer Verschlimmerung der Muskelschädigung. Eine entsprechende Zusammenfassung ist in einer vom Direktor der FDA CDER mitverfassten Publikation enthalten (Rosenberg *et al.*, 2015). Die fortschreitende Verschlechterung der Muskelkraft in den unteren Extremitäten führt zu einer eingeschränkten Mobilität; auch die oberen Gliedmaßen sind betroffen, was zu einem weiteren Verlust der Funktion und der Fähigkeit zur Selbstversorgung führt. Patienten, die Kortikosteroide einnehmen, können bereits im frühen Teenageralter – im Alter von durchschnittlich 13 Jahren – rollstuhlpflichtig werden. Auch respiratorische, kardiale und kognitive Dysfunktionen können auftreten. Patienten mit einer größeren Anzahl von T-Immunzellen, die hohe Mengen an CD49d exprimieren, haben einen schwereren und

progredienteren Krankheitsverlauf und können trotz Behandlung mit Kortikosteroiden im Alter von 10 Jahren nicht mehr gehen (Pinto Mariz et al., 2015). Erfolgt kein Eingriff, liegt die durchschnittliche Lebenserwartung bei rund 19 Jahren. Die Behandlung von Entzündungsreaktionen in Zusammenhang mit DMD erfolgt derzeit über Kortikosteroide; allerdings weiß man, dass diese nur unzureichend wirksam und mit signifikanten Nebenwirkungen behaftet sind. Aus diesem Grund besteht ein anerkannt hoher Bedarf an neuen therapeutischen Ansätzen für die Behandlung von Entzündungsprozessen in Verbindung mit DMD.

Rosenberg AS, Puig M, Nagaraju K, et al. Immunvermittelte Pathologie der Muskeldystrophie Duchenne; *Sci Transl Med* 2015, 7: 299rv4.

Bushby et al. für die DMD Care Consideration Working Group/*Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, Teil 1*, Lancet Neurol. Januar **2010**;9(1):77-93 und *Teil 2*, Lancet Neurol. Februar **2010**;9(2):177-89.

Pinto-Mariz F, Carvalho LR, Araújo AQC, et al. CD49d ist ein Biomarker für die Progredienz der Erkrankung und ein potenzielles Ziel in der Immuntherapie bei Duchenne-Muskeldystrophie. *Skeletal Muscle* 2015, 5: 45-55.

*Die Ausgangssprache (in der Regel Englisch), in der der Originaltext veröffentlicht wird, ist die offizielle, autorisierte und rechtsgültige Version. Diese Übersetzung wird zur besseren Verständigung mitgeliefert. Die deutschsprachige Fassung kann gekürzt oder zusammengefasst sein. Es wird keine Verantwortung oder Haftung für den Inhalt, die Richtigkeit, die Angemessenheit oder die Genauigkeit dieser Übersetzung übernommen. Aus Sicht des Übersetzers stellt die Meldung keine Kauf- oder Verkaufsempfehlung dar! Bitte beachten Sie die englische Originalmeldung auf [www.sedar.com](http://www.sedar.com), [www.sec.gov](http://www.sec.gov), [www.asx.com.au/](http://www.asx.com.au/) oder auf der Firmenwebsite!*