

## **Pädiatrisches Prüfkonzept für ATL1102 bei DMD bei der Europäischen Arzneimittelagentur eingereicht**

- **PIP eingereicht, Rückmeldung der PDCO wird für das 2. Quartal 2021 erwartet**
- **Herstellung von klinischem Material im Gange**
- **CRO-Auswahlprozess im Gange**

Antisense Therapeutics Limited [ASX:ANP | US OTC:ATHJY | FWB:AWY], (das Unternehmen) freut sich mitzuteilen, dass das pädiatrische Prüfkonzept (PIP) für die Entwicklung von ATL1102 für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) beim Pädiatriausschuss (PDCO) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) eingereicht worden ist. Ein pädiatrisches Prüfkonzept ist ein Entwicklungsplan, der sicherstellen soll, dass die notwendigen Daten durch Studien an Kindern gewonnen werden, um die Zulassung eines Medikaments für Kinder zu unterstützen. Das PIP richtet sich an das gesamte pädiatrische Entwicklungsprogramm für ATL1102 bei DMD.

Der PIP-Antrag für ATL1102 bei DMD betrifft die geplante klinische Phase-IIb-Studie für ATL1102 bei nicht-ambulanten DMD-Patienten, die in Europa durchgeführt werden soll. Das Unternehmen ist bestrebt, das Design der Phase-IIb-Studie durch den PIP und erste Rückmeldungen der PDCO zu bestätigen, bevor voraussichtlich im zweiten Quartal 21 der Antrag für die Phase-IIb-Studie eingereicht wird.

Das Unternehmen plant die Durchführung einer multizentrischen, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Studie mit ATL1102 bei nicht-ambulanten Patienten, die ATL1102 über 12 Monate in zwei Dosisstufen erhalten sollen. Die Studie soll als potenziell ausschlaggebende (zulassungsfähige) Untersuchung mit anschließender Open-Label-Erweiterungsphase durchgeführt werden. Weitere Studiendetails werden bekannt gegeben, sobald das Unternehmen die Rückmeldung des PIP erhalten und seinen Studienantrag eingereicht hat.

Das Unternehmen hat mit der Herstellung des Wirkstoffs ATL1102 für die Phase-IIb-Studie begonnen und plant, dieses Material im 2. Quartal 21 zu einem injizierbaren Produkt formulieren zu lassen.

Parallel dazu ist das Unternehmen dabei, eine geeignete erfahrene Contract Research Organisation (CRO) [Auftragsforschungsinstitut] für die Durchführung der Phase IIb-Studie auszuwählen. Die CRO wird für die Erbringung von Dienstleistungen im Rahmen der klinischen Studie verantwortlich sein, wie z. B. Auswahl und Einrichtung des Prüfzentrums, Patientenrekrutierung, Überwachung der klinischen Studie, Datenmanagement, Statistik, medizinische Überwachung, Arzneimittelüberwachung und Qualitätskontrollprozesse.

Da die Genehmigung klinischer Studien in der EU der nationalen Souveränität unterliegt, werden die Anträge bei den jeweiligen nationalen Behörden der europäischen Staaten eingereicht, in denen das Unternehmen die Phase-IIb-Studie durchzuführen gedenkt (die Standorte werden nach Abschluss der Durchführbarkeitsbewertungen durch die CRO bestätigt). Die Zulassungen werden dann wahrscheinlich gestaffelt erfolgen, abhängig von den Zulassungsfristen der einzelnen Staaten. Wenn alles gut läuft, werden die ersten Zulassungen für das 3. Quartal 2021 erwartet, mit dem Start der Studie im 4. Quartal 2021.

Der CEO von Antisense Therapeutics, Mark Diamond, sagte: „Mit dem Beginn des offiziellen EMA-Prozesses zur Etablierung des klinischen und kommerziellen Pfades für ATL1102 in Europa, dem zweitgrößten Pharmamarkt der Welt, stellt die PIP-Einreichung einen wichtigen Schritt in der Weiterentwicklung von ATL1102 als potenzielle Behandlung für DMD-Patienten in dieser Region dar. Wir freuen uns auf das Feedback von PDCO zum Design der Phase-IIb-Studie und werden anschließend den Studienantrag einreichen.“

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 | FWB: AWY) 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 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!*