

26. Mai 2021

Herstellung von klinischem Material für ATL1102 im Rahmen der Phase-IIb-Studie zu DMD

- Die Herstellung einer Charge des aktiven pharmazeutischen Wirkstoffs (API) ATL1102 ist abgeschlossen
- Die Formulierung zu injizierbarem Produkt für den Einsatz in der Phase-IIb-Studie ist abgeschlossen
- Die Arzneimittelprüfung hinsichtlich der Freigabe für die Verwendung in klinischen Studien ist im Gange

Antisense Therapeutics Limited [ASX: ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY], (das Unternehmen) freut sich, nachfolgend über die Fortschritte bei der Herstellung von klinischem Material für seine geplante klinische Phase-IIb-Studie zu ATL1102 in der Behandlung von nicht mehr gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zu berichten.

Die Herstellung des aktiven pharmazeutischen Wirkstoffs (API) ATL1102 für die Phase-IIb-Studie erfolgte in Nordamerika durch den Auftragshersteller (CMO) Nitto Denko Avecia (Avecia), der über mehr als 27 Jahre Erfahrung in der Entwicklung und Herstellung von Oligonukleotiden (Antisense-Pharmaka) verfügt. Avecia unterstützt die Markteinführung von Oligonukleotid-Produkten seit 2004. Die Firma punktet mit einer reibungslosen Lieferkontinuität von bis zu mehreren Kilogramm pro Charge und verfügt über entsprechende großtechnische und kommerzielle Kapazitäten, um klinische Studien im fortgeschrittenen Stadium zu unterstützen und nachfolgend eine kommerzielle Versorgung sicherzustellen.

Nachdem Avecia im vergangenen Monat die Herstellung dieser API-Charge abschließen konnte, wurde das Material der Firma Pyramid Laboratories, einem in Costa Mesa (Südkalifornien) ansässigen Auftragshersteller von (injizierbaren) Arzneimitteln für die parenterale Verabreichung, übergeben und zu einem injizierbaren Produkt für die Verwendung in der Phase-IIb-Studie formuliert. Dieses formulierte Injektionsprodukt (Arzneimittelprodukt oder DP) wird derzeit einer Fertigproduktprüfung zur Freigabe für den klinischen Einsatz unterzogen; die entsprechenden Ergebnisse sollten gegen Ende des kommenden Monats vorliegen.

Mark Diamond, CEO von Antisense Therapeutics, erklärt: „Wir freuen uns sehr über die Fortschritte bei der Herstellung von klinischem Material für unsere geplante Phase-IIb-Studie mit ATL1102 – vor allem angesichts der Herausforderungen, mit denen alle CMOs während der globalen COVID-Pandemie konfrontiert waren. Wir schätzen uns glücklich, so renommierte CMOs mit einer so umfangreichen Erfahrung auf dem Gebiet der Antisense-Arzneimittel als Partner zu haben und mit beiden seit mehr als 15 Jahren zusammenzuarbeiten. Sie können uns während des gesamten Herstellungsprozesses bis hin zur Vermarktung des Endprodukts maßgeblich unterstützen.“

Diese Mitteilung wurde vom CEO des Unternehmens zur Veröffentlichung freigegeben.

Nähere Informationen erhalten Sie über:**Antisense Therapeutics**

Mark Diamond
Geschäftsführer
+61 (0)3 9827 8999
www.antisense.com.au

Anfragen von Investoren

Gennadi Koutchin
XEC Partners
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 der Muskeldystrophie Duchenne. *Skeletal Muscle* 2015, 5: 45-55.

Über Nitto Avecia Nitto Avecia ist der größte Oligonukleotid-Hersteller der Welt und spielt nach wie vor eine entscheidende Rolle in der Weiterentwicklung des Marktes für Oligonukleotid-Therapeutika. Mit mehr als 20 Jahren Erfahrung und über 1.000 hergestellten Sequenzen erfüllen wir jeden Bedarf unserer Kunden an präklinischen und klinischen Produkten sowie marktfähigen Produkten. Wir verfügen über entsprechende Produktionskapazitäten in FDA-genehmigten Betriebsanlagen in der Nähe von Boston (Massachusetts) und Cincinnati (Ohio) und stellen eine neuartige Klasse von aktiven pharmazeutischen Wirkstoffen (APIs) – die sogenannten Oligonukleotide – her, die von Pharma- und Biotechnologiefirmen zur Entwicklung von Arzneimitteltherapien für eine Vielzahl von medizinischen Indikationen verwendet werden. Zusätzlich zu unseren präklinischen und der Guten Herstellungspraxis (cGMP) entsprechenden Oligonukleotid-Produktionskapazitäten nutzen wir unser umfangreiches Fachwissen, um ein Dienstleistungsportfolio anzubieten, das die analytische Entwicklung, die Verfahrensentwicklung und die Qualitätskontrolle umfasst. Kontaktieren Sie uns unter www.avecia.com.

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, www.sec.gov, www.asx.com.au/ oder auf der Firmenwebsite!