

ASX-Mitteilung  
28. Juni 2021

---

**Antisense Therapeutics und das Murdoch Children's Research Institute schließen ein neues F&E-Kooperationsabkommen zur weiteren Untersuchung von ATL1102 bei verschiedenen Muskelerkrankungen ab**

- Beide Kooperationspartner ergänzen sich aus strategischer Sicht ideal durch umfangreiches präklinisches und klinisches Datenmaterial zu ATL1102
- Zusätzliche positive Daten aus dem DMD-Tiermodell (*mdx*) ermöglichen weitere Studien, auch in Kombination mit Medikamenten zur Wiederherstellung von Dystrophin
- Es sollen Studien mit Ex-vivo-Proben von Patienten und In-vivo-Mäusemodelle durchgeführt werden, um den Nutzen von ATL1102 auch bei anderen Muskelerkrankungen zu bewerten
- Ein Förderantrag für weitere Arbeiten im Rahmen von Mäusemodellen zu Muskelerkrankungen und zur Untersuchung der VLA-4-Expression auf Immunzellen in Blutproben von Patienten bei anderen Muskelerkrankungen im Kindesalter wurde eingereicht
- Derzeit erfolgt die Analyse von Blut-(Plasma-)Proben von DMD-Patienten, um Einblicke in die breitere immunmodulierende Wirkung von ATL1102 zu gewinnen

Antisense Therapeutics Limited [ASX: ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY] freut sich mitteilen zu können, dass das Unternehmen eine neue Forschungs- und Entwicklungskooperation mit den wissenschaftlichen Forschern des Murdoch Children's Research Institute (MCRI), Dr. Peter Houweling und Associate Professor Shireen Lamande, eingegangen ist, um das Potenzial von ATL1102 noch genauer zu untersuchen. Ziel ist es, eine revolutionäre Therapie aufzuzeigen, mit der immunvermittelte entzündliche Muskelschäden bei Muskelerkrankungen, bei denen nachweislich ein Bedarf an wirksameren und sichereren Behandlungsmethoden besteht, erfolgreich behandelt werden können.

ATL1102 hat sich bei Patienten mit Multipler Sklerose und Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als klinisch aktiv erwiesen, während die Antisense-Hemmung von CD49d bereits im Vorfeld schon in Tiermodellen bei mehreren Krankheiten nachgewiesen werden konnte. Die Forscher des MCRI und ANP haben zusätzliche Experimente durchgeführt, die gezeigt haben, dass die Antisense-Hemmung von CD49d bei Mäusen mit DMD, bei denen eine X-Chromosom-gebundene Muskeldystrophie (*mdx*) vorliegt, sowohl das CD49d-Ziel im Muskel als auch die Muskelschäden reduziert. Das entsprechende Datenmaterial wird voraussichtlich noch im Jahr 2021 zur Veröffentlichung eingereicht.

Nach den positiven Ergebnissen aus dem *mdx*-Tiermodell ist nun die weitere Untersuchung der Antisense-Hemmung von CD49d-Effekten im *mdx*-Modell in Kombination mit anderen DMD-Therapien einschließlich des Einsatzes von Medikamenten zur Wiederherstellung von Dystrophin möglich; dabei soll bewertet werden, inwieweit mit einer Kombinationstherapie ein größerer Therapieerfolg erzielt werden kann. Diese Arbeiten sollen in der zweiten Jahreshälfte 2021 erfolgen und werden mit ANPs vorhandenen Barreserven finanziert.

Darüber hinaus wird die Antisense-Hemmung von CD49d in einem weiteren Tiermodell mit Muskelerkrankungen untersucht, in dem ähnliche immunvermittelte Entzündungsmerkmale wie im *mdx*-Modell vorliegen, wo bereits eine positive Wirkung nachgewiesen werden konnte.

Zudem plant ANP, ATL1102 im Rahmen seiner Ex-vivo-Zellexpressions- und Modellierungssysteme zu evaluieren. Dazu werden Blutproben von pädiatrischen Patienten, die an verschiedenen Muskelerkrankungen leiden, untersucht, um die potenzielle Aktivität von ATL1102 bei diesen Krankheitsbildern, bei denen dringend wirksame Therapien benötigt werden, zu erforschen. Je nachdem, wie sich die Aufnahme der Studienprobanden gestaltet, sollen diese Arbeiten im zweiten Halbjahr 2021 eingeleitet werden.

Seite **1** von **3**

Das MCRI hat um Fördermittel für weitere Untersuchungen zu ATL1102 wie oben beschrieben angesucht. Das Unternehmen rechnet außerdem damit, dass es von dem in Australien durchgeführten, nicht zuwendungsbezogenen Programm profitieren wird, da hier die von der australischen Regierung in Aussicht gestellte Steuerbegünstigung für Forschung & Entwicklung in Höhe von 43,5 % der Kosten zum Tragen kommen sollte.

ANP hält derzeit noch Einzelheiten zu den neuen Krankheitsindikationen zurück, damit bei entsprechendem Studienerfolg ein zusätzlicher Patentschutz für den Einsatz von ATL1102 bei diesen Indikationen beantragt werden kann. Gegebenenfalls würde ANP auch die Zulassung eines „Orphan-Arzneimittels“ beantragen, um eine zusätzliche Marktabsicherung zu erwirken.

Das Unternehmen reicht laufend neue Patentanmeldungen zum Schutz des Einsatzes von ATL1102 bei neuen immunvermittelten entzündlichen Muskelindikationen ein. Erst im vergangenen Jahr wurde die internationale Patentanmeldung PCT/AU2020/050445 eingereicht, der Patentanmeldungen auf nationaler Ebene folgen werden.

Wie bereits mitgeteilt, untersucht ANP derzeit die breitere immunmodulierende Wirkung von ATL1102 anhand der Analyse von Blut-(Plasma-)Proben, die aus der Phase-II-Studie des Unternehmens zu ATL1102 bei DMD-Patienten zurückbehalten wurden. ANP führt diese Plasmaanalyse aktuell durch und rechnet damit, dass das neue Datenmaterial weitere Erkenntnisse über den Wirkmechanismus und die biologische Aktivität von ATL1102 auf breiterer Ebene bringen wird. ANP plant, noch im Vorfeld seiner geplanten Präsentation im Rahmen einer geeigneten wissenschaftlichen Konferenz im zweiten Halbjahr 2021 auf Basis dieser neuen Daten einen zusätzlichen Patentschutz zu beantragen.

Dr. Peter Houweling von der Murdoch Children's Research, Musculoskeletal and Neuromuscular Research Group erklärt: „Wir freuen uns, unsere aktive Forschungspartnerschaft mit Antisense Therapeutics fortzusetzen und unsere Zusammenarbeit über die ersten Erfolge bei DMD hinaus auf die Entwicklung neuer innovativer Ansätze zur Behandlung einer Vielzahl von schwerwiegenden Muskelerkrankungen auszudehnen, für die es nur wenige wirksame Therapien gibt.“

Dr. George Tachas, der bei Antisense Therapeutics als Director of Drug Discovery and Patents verantwortlich zeichnet, sagt: „Diese Zusammenarbeit soll auf den bisherigen Forschungserfolgen und klinischen Erfolgen von ATL1102 aufbauen, um sowohl den klinischen Nutzen von ATL1102 bei DMD als auch seine Anwendung bei anderen Krankheitsindikationen, die mit den Kompetenzen und dem Arbeitsschwerpunkt des Unternehmens im Bereich immunvermittelte Entzündungskrankheiten korrelieren, potenziell zu erweitern und in weiterer Folge dazu beitragen, dass wir unsere Entwicklungspipeline weiter ausbauen und so einen entsprechenden Mehrwert schaffen und den Unternehmenswert erheblich steigern.“

*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)

**Anlegerkontakt**

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 nachgewiesen werden. ATL1102 hat sich auch als hochwirksam bei der Verringerung entzündlicher Hirnläsionen bei MS-Patienten erwiesen (Limmroth, V. et al., *Neurology*, 2014; 83(20): 1780-1788) und lieferte vor kurzem vielversprechende klinische Ergebnisse bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), einer seltenen Muskelschwunderkrankung mit tödlichem Ausgang, bei der Entzündungen im Muskel zu Fibrose und zum Absterben von Muskelgewebe führen.

**Über MCRI.** Das Murdoch Children's Research Institute (MCRI) ist das größte Forschungsinstitut für Kindergesundheit in Australien, das sich der Entdeckung und Entwicklung von Therapien zur Verbesserung der Gesundheit von Kindern und Jugendlichen sowohl in Australien als auch auf internationaler Ebene verschrieben hat. Das Institut leistet Pionierarbeit bei der Entwicklung neuer Therapien, forscht nach besseren Impfstoffen und verbessert die Diagnose- und Behandlungsmöglichkeiten für kranke Säuglinge, Kinder und Jugendliche. Es zählt zu den wenigen Forschungsinstitute in Australien, die Gentests anbieten, um Lösungen für Familien von Kindern mit bisher nicht diagnostizierten Erkrankungen zu finden.

*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!*