

ASX-Mitteilung

24. August 2021

ANP beteiligt sich an der von PPMD initiierten Entwicklung einer neuen Duchenne-Leitlinie unter Beteiligung von Interessengruppen für die Einreichung bei der FDA

- ANP wird als Mitglied im Pharmaceutical Advisory Board an der Erstellung der DMD-Leitlinie mitarbeiten

Antisense Therapeutics Limited [ASX:ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY], (das Unternehmen) freut sich bekannt zu geben, dass Gil Price, MD, der medizinische Direktor des Unternehmens in den USA, als Mitglied in das Pharmaceutical Advisory Board (PAB) für die Entwicklung der neuen Duchenne-Leitlinie der Organisation ‚Parent Project Muscular Dystrophy‘ (PPMD), die der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA vorgelegt werden soll, berufen wurde.

In enger Zusammenarbeit mit dem Lenkungsausschuss und den Vorsitzenden der Arbeitsgruppen, die sich aus Patientenvertretern, Pflegepersonen, Klinikern, Forschern, Akademikern und Vertretern der Pharmaindustrie zusammensetzen, wird das PAB sein Augenmerk vor allem darauf richten sicherzustellen, dass in der gesamten Leitlinie auch Standpunkte von Unternehmen, die sich für die Interessen von Duchenne-Betroffenen einsetzen, Berücksichtigung finden.

PPMD hat erfolgreich den allerersten, von Patientengruppierungen initiierten Leitlinienentwurf für Unternehmen, die sich der Entwicklung von Therapien zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie verschrieben haben, erarbeitet. Die im Juni 2014 bei der FDA eingereichten Unterlagen bildeten eine wichtige Ressource, um sowohl Unternehmen als auch die FDA selbst über den sich abzeichnenden Trend in der Arzneimittelentwicklung zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) einerseits und über die patientenorientierten Ansichten im Hinblick auf Nutzenerwartungen und Risikotoleranz von Betroffenen andererseits zu informieren. Die PPMD-Initiative ist inzwischen nicht nur in der Duchenne-Community, sondern auch in anderen Interessengruppen für seltene Erkrankungen zu einem Meilenstein geworden, der beispielhaft aufzeigt, welche Werte Patienten und Pflegepersonen in die Arzneimittelentwicklung einbringen können.

PPMD hat nun damit begonnen, das richtungsweisende Dokument des von der Community entwickelten Leitfadens aus dem Jahr 2014 zu aktualisieren. Damit soll sichergestellt werden, dass der Leitfaden die zahlreichen Fortschritte der letzten Jahre in Bezug auf Wissen, Verständnis, Pflege, klinische Studien und Zulassungen widerspiegelt. Ähnlich wie im Jahr 2014 hat PPMD einen Lenkungsausschuss sowie Arbeitsgruppen mit über 80 Beteiligten gebildet. Damit sollen noch mehr innovative Impulse eingearbeitet und der Weg für das Endziel, allen Patienten den Zugang zu Therapien zu ermöglichen, geebnet werden.

PPMD ist die größte und umfassendste gemeinnützige Organisation in den Vereinigten Staaten, die sich der Suche nach Therapien zur Heilung von DMD verschrieben hat. Ihr Ziel ist es, die Krankheit DMD auszumerzen (www.parentprojectmd.org). PPMD forciert die Forschung, sieht sich als Sprachrohr, das Einfluss auf die Politik nimmt, fordert eine optimale Betreuung für jede einzelne Familie und setzt sich für den Zugang zu zugelassenen Therapien ein. PPMD tätigt umfangreiche Investitionen in die Behandlung von Duchenne-Patienten und auch in die Forschung, die zukünftigen Generationen zugute kommen wird. Die Organisation agiert von ihrem Sitz in Washington (DC) aus und hat bereits Hunderte Millionen Dollar an Finanzmittel aufgebracht.

Dr. Gil Price, der medizinische Direktor von Antisense Therapeutics in den USA, sagt: „Wir schätzen es sehr, die Gelegenheit zu bekommen, einen entsprechenden Beitrag zu diesem wichtigen Dokument zu leisten, und wir hoffen, damit das Leben junger Männer zu verbessern.“

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

Anlegerkontakt

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.

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!