

30. September 2021

Positive Rückmeldung zum pädiatrischen Prüfkonzept

- **Positive Rückmeldung zum pädiatrischen Prüfkonzept muss im Rahmen des Treffens im Oktober bestätigt werden**
- **International führende Auftragsforschungsorganisation wurde beauftragt**
- **Die Standortbewertung und Vorbereitung der Unterlagen für die Anträge zur Durchführung von klinischen Studien sind im Gange**

Antisense Therapeutics Limited [ASX:ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY] hat heute bekannt gegeben, dass das Unternehmen vom Pädiatriausschuss (Paediatric Committee/PDCO) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) einen Stellungnahmeentwurf erhalten hat, der die Einwilligung zu seinem pädiatrischen Prüfkonzept (Paediatric Investigation Plan/PIP) für die Entwicklung von ATL1102 zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) empfiehlt.

Im Stellungnahmeentwurf heißt es: „*Nach Prüfung des vorgeschlagenen pädiatrischen Prüfkonzepts gemäß Artikel 17 der Verordnung (EG) Nr. 1901/2006 in ihrer geänderten Fassung empfiehlt der Pädiatrische Entwicklungsausschuss, wie in der beigefügten Zusammenfassung dargelegt, das pädiatrische Prüfkonzept gemäß Artikel 17 Absatz 1 der genannten Verordnung zu billigen*“. Die Maßnahmen und Fristen des pädiatrischen Prüfkonzepts, das zur Billigung empfohlen wird, sind im Stellungnahmeentwurf dargelegt. Der Stellungnahmeentwurf befindet sich derzeit in Prüfung, bevor er vom PDCO im Rahmen des nächsten Treffens mit dem Unternehmen am 15. Oktober 2021 erörtert und angenommen wird. Das Unternehmen wird gebeten, vor dem Treffen eine Rückmeldung zu übermitteln und das Dokument auf etwaige Ungenauigkeiten zu überprüfen. Bei der Stellungnahme handelt es sich lediglich um einen Entwurf, der möglicherweise nicht der endgültigen Stellungnahme des PDCO entspricht. ANP sind keine wesentlichen Probleme bekannt, die sich negativ auf die Annahme des oben genannten Stellungnahmeentwurfs durch den PCDO auswirken würden. Der Stellungnahmeentwurf scheint zur Gänze mit den Plänen des Unternehmens für die Durchführung der Phase-IIb-Studie übereinzustimmen. Sobald die Stellungnahme des PDCO und die Entscheidung der EMA angenommen wurden, werden diese dem Unternehmen kurz danach übermittelt.

Ein pädiatrisches Prüfkonzept ist ein Entwicklungsplan, der sicherstellen soll, dass die erforderliche Datenlage durch Studien an Kindern erhoben wird. Die Genehmigung des PIP ist erforderlich, um die Zulassung eines Arzneimittels für Kinder in der Europäischen Union (EU) zu ermöglichen. Das pädiatrische Prüfkonzept bezieht sich auf das gesamte pädiatrische Entwicklungsprogramm für ATL1102 bei DMD (einschließlich künftiger Studien mit gehfähigen DMD-Patienten). ANP möchte durch seine Zusammenarbeit mit dem PDCO sicherstellen, dass die Durchführung seiner geplanten klinischen Studien, einschließlich der klinischen Phase-IIb-Studie zu ATL1102 mit nicht gehfähigen jugendlichen DMD-Patienten (Knaben), in Übereinstimmung mit den Erwartungen des PDCO für eine zukünftige Produktzulassung erfolgt.

Weitere Einzelheiten zum Design der Phase-IIb-Studie, einschließlich des voraussichtlichen Zeitplans für die Beantragung und Genehmigung der Phase-IIb-Studie zu ATL1102 bei nicht gehfähigen DMD-Patienten, die in Europa durchgeführt werden soll, werden den Marktteilnehmern mitgeteilt, sobald die endgültige Stellungnahme des PDCO nach dem entsprechenden Treffen am 15. Oktober 2021 vorliegt.

Das Unternehmen forciert die Vorbereitungen für seine geplante klinische Phase-IIb-Studie in Europa und hat die global tätige klinische Forschungsorganisation Parexel mit der Durchführung der Studie beauftragt. <https://www.parexel.com/>

Das Arbeitsprogramm hat bereits eingeleitet, und Parexel führt derzeit Standortbewertungen durch, um die an der Phase-IIb-Studie teilnehmenden Standorte (> 30) auszuwählen. Die Aufnahme von Patienten in die europäische Studie erfolgt, sobald die erforderlichen Genehmigungen der Studienanträge in den einzelnen Ländern vorliegen.

Frau Nuket Desem, die als Director, Clinical and Regulatory Affairs für klinische und regulatorische Angelegenheiten bei Antisense Therapeutics verantwortlich zeichnet, meint: „Der Erhalt der positiven Rückmeldung des PDCO der EMA zum pädiatrischen Prüfkonzept ist ein weiterer wichtiger Schritt, um die Pläne des Unternehmens hinsichtlich der Durchführung der potenziell zulassungsfähigen Phase-IIb-Studie zu ATL1102 bei DMD in Europa zu forcieren, und entspricht auch den Erwartungen des Unternehmens. Da mit der endgültigen Stellungnahme in den kommenden Wochen zu rechnen ist, finalisieren wir derzeit die Standortbewertungen und -auswahl für die Durchführung der Studie und bereiten die Anträge für die klinische Studie zur Einreichung bei den zuständigen nationalen Behörden vor.“

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!