

Positiver Bescheid für PIP von der britischen MHRA & Bestätigung der PDCO-Entscheidung durch die EMA

- **Vereinigtes Königreich erteilt positiven Bescheid zum PIP**
- **Positiver PDCO-Bescheid von EMA ratifiziert**
- **Phase-IIb/III-Schlüsselstudie in Europa auf Schiene für geplanten Start Mitte 2022**

Antisense Therapeutics Limited [ASX: ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY] hat heute bekannt gegeben, dass das Unternehmen von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) im Vereinigten Königreich einen positiven Bescheid zu seinem in Großbritannien eingereichten pädiatrischen Prüfkonzept (Paediatric Investigation Plan/PIP) für die Entwicklung von ATL1102 zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) erhalten hat (nach dem Ausscheiden des Vereinigten Königreichs aus der Europäischen Union wurde ein eigenes PIP bei der MHRA eingereicht). Das Vereinigte Königreich ist ein wichtiger Standort für die Durchführung der Studie und auch der Sitz unseres koordinierenden Hauptprüfers, Professor Thomas Voit MD (Direktor des britischen NIHR GOSH UCL Biomedical Research Centre).

Die in der PIP-Entscheidung im Vereinigten Königreich dargelegten Maßnahmen stimmen mit jenen überein, die in der positiven finalen Stellungnahme des Pädiatriausschusses (PDCO) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) zum PIP des Unternehmens für die Entwicklung von ATL1102 zur Behandlung von DMD dargelegt wurden (ASX-Mitteilung vom 1. November 2021). Im Anschluss an die Bekanntgabe dieser Mitteilung hat das Unternehmen nun die formelle Bestätigung dieser Entscheidung durch die EMA erhalten.

Ein PIP ist ein Entwicklungsplan, der sich mit dem gesamten pädiatrischen Entwicklungsprogramm für ATL1102 bei DMD befasst (einschließlich zukünftiger Studien an gefährigten DMD-Patienten) und sicherstellen soll, dass die erforderlichen Daten anhand von Studien an Kindern (einschließlich der klinischen Phase-IIb/III-Studie zu ATL1102 bei nicht gefährigten Knaben mit DMD in Europa) in Übereinstimmung mit den Erwartungen der EMA und nun auch der MHRA im Hinblick auf eine zukünftige Produktzulassung gewonnen werden. Bei der klinischen Phase-IIb/III-Studie handelt es sich um eine multizentrische, randomisierte, doppelblinde, plazebokontrollierte Studie zur Beurteilung der Wirksamkeit und Sicherheit sowie des pharmakokinetischen Profils von ATL1102 bei nicht gefährigten DMD-Probanden mit anschließender Open-Label-Verlängerungsstudie.

Die vom Unternehmen beauftragte klinische Forschungsorganisation (CRO) schließt derzeit die Bewertung der Standorte in Form von Standortbesichtigungen ab, um die entsprechenden Standorte (mehr als 30) im Vereinigten Königreich, den Niederlanden, Deutschland, Italien, Frankreich, Belgien, Spanien, Bulgarien und der Türkei auszuwählen. Nach erfolgter Bewertung und der Auswahl der Studienstandorte werden mit allen Prüfzentren Vereinbarungen über klinische Prüfungen abgeschlossen und bei den zuständigen nationalen Behörden aller teilnehmenden Länder separate Anträge auf Durchführung der klinischen Prüfungen gestellt. Die Vorbereitung der erforderlichen Regulierungsunterlagen für die Genehmigung der klinischen Studien durch die Ethikkommission und die zuständige Behörde ist bereits weit fortgeschritten. Das klinische Material für die ATL1102-Studie wird ebenfalls für den Versand nach Europa vorbereitet, wo es zu Medikationseinheiten für die Studie verpackt und etikettiert wird. Diese werden dann von einem qualifizierten Sachverständigen in Europa für die Verwendung im Rahmen der klinischen Studie freigegeben. Im Anschluss an diese Aktivitäten sollte voraussichtlich Mitte 2022 mit der Patientenrekrutierung begonnen werden (Näheres zum zeitlichen Ablauf finden Sie in der Anlegerpräsentation vom 1. November 2021, die das Unternehmen bei der Börsenaufsicht der ASX eingereicht hat).

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

Kontakt für Anleger:

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!