

In der Studie am Tiermodell in Kooperation mit MCRI wurde mit der Verabreichung begonnen

- In einem ersten Tiermodell für entzündliche Muskelerkrankungen wurde mit der Verabreichung begonnen
- Daten aus der ersten Programmphase sollen bis zum 2. Quartal 2022 vorliegen
- Eine Studie zur Kombination mit einem Arzneimittel zur Wiederherstellung von Dystrophin wird im 2. Quartal 2022 eingeleitet
- Die Ergebnisse der Kombinationsstudie sollen dann im 3. Quartal des Kalenderjahres 2022 vorliegen

Antisense Therapeutics Limited [ASX: ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY] hat heute bekannt gegeben, dass im Rahmen der bereits angekündigten Forschungskooperation mit dem Murdoch Children's Research Institute (MCRI) mit der Verabreichung von ATL1102 in einem Tiermodell für entzündliche Muskelerkrankungen begonnen wurde. Untersucht werden soll das therapeutische Potenzial von ATL1102 bei einer neuen Muskelerkrankung, für die es bisher keine wirksamen Therapiemöglichkeiten gibt. Alle Tiere erhielten erfolgreich ihre erste Dosis des Antisense-Arzneimittels CD49d bzw. eine Kontrollgruppenbehandlung (Oligonukleotid-Mismatch oder Kochsalzlösung).

ATL1102 hat sich bei nicht gehfähigen Patienten mit einer Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als klinisch wirksam erwiesen, während die Antisense-Hemmung von CD49d auch in einem DMD-Tiermodell (*mdx*) an Mäusen mit muskulärer Dystrophie Wirkung gezeigt hat. Es wurden sowohl das CD49d-Ziel im Muskel als auch der Muskelschaden reduziert. Nach den positiven Ergebnissen im DMD-Tiermodell (*mdx*) wird nun die Antisense-Hemmung von CD49d in einem Mäusemodell mit einer weiteren entzündlichen Muskelerkrankung untersucht, bei der ähnliche immunvermittelte Entzündungsmerkmale wie im *mdx*-Modell vorliegen.

Das Unternehmen hat zwar Patente angemeldet, um sich die Schutzrechte für die Verwendung von ATL1102 in dieser neuen Indikation zu sichern, hat diese Indikation jedoch nicht näher benannt, da durch die erfolgreiche Durchführung des Studienprogramms am MCRI ein weiterer wichtiger Schutz von geistigem Eigentum generiert werden könnte. ANP kann allerdings soviel sagen, dass es sich bei der neuen untersuchten Indikation einer entzündlichen Muskelerkrankung um eine seltene Muskelerkrankung handelt, die sowohl Kinder als auch Erwachsene betrifft, für die es keine wirksame marktgängige Therapie und keine krankheitsmodifizierenden Wirkstoffe im fortgeschrittenen Erkrankungsstadium gibt, und bei der die beobachtete immunmodulierende Aktivität von ATL1102 auf einen potenziellen Therapienutzen hindeutet.

Im Rahmen der ersten Phase (Akutphase) dieses Entwicklungsprogramms, in der die Auswirkungen der Antisense-Hemmung des CD49d-Ziels im Muskel untersucht werden soll, wurde mittlerweile mit der Verabreichung begonnen. Die Ergebnisse aus dieser ersten Programmphase werden im 2. Quartal des Kalenderjahres 2022 erwartet. In der zweiten Phase (chronischen Phase) des Programms wird die Wirkung des Arzneimittels über einen längeren Verabreichungszeitraum im Tiermodell untersucht. Bewertet werden die Auswirkungen der Antisense-Hemmung des CD49d-Ziels auf die Verringerung von Muskelschäden, und zwar anhand des Fettgehalts im Muskel. Ein wesentliches klinisches Ziel bei Patienten mit dieser entzündlichen Muskelerkrankung ist es, die Zunahme des Fettanteils im Muskel zu

verhindern. Es sei hier erwähnt, dass ANP bereits im Vorfeld über die positive Wirkung von ATL1102 bei der Stabilisierung des Fettgehalts in der Muskelmasse von DMD-Patienten berichtet hat. Die Daten aus der zweiten Phase mit Verabreichung bei chronischem Krankheitsverlauf werden voraussichtlich in der zweiten Hälfte des Kalenderjahres 2022 vorliegen.

Die Ausweitung der Anwendung von ATL1102 auf diese neue Indikation würde es ANP ermöglichen, sowohl seine nachweislichen Kernkompetenzen (z. B. Erfahrung mit seltenen Erkrankungen, wissenschaftliche Partnerschaften und wissenschaftliche Kooperationen mit z. B. MCRI, wichtigen Meinungsbildnern etc.) als auch die umfangreichen nicht-klinischen und klinischen Daten zu ATL1102 zur Vertiefung der Produktpipeline des Unternehmens zu nutzen. ANP könnte dann auf Grundlage positiver Daten aus den Tiermodellen oder durch Lizenzvergabe rasch zur klinischen Anwendung gelangen.

Wie bereits angekündigt, wird im Rahmen der Zusammenarbeit mit dem MCRI auch die potenzielle Wirkung der Antisense-Hemmung von CD49d im DMD-Modell *mdx* in Verbindung mit einem Arzneimittel zur Wiederherstellung von Dystrophin untersucht. Man will hier den Therapieerfolg gegenüber der Monotherapie verbessern. Diese Studie soll planmäßig im 2. Quartal des Kalenderjahres 2022 eingeleitet werden. Mit den Ergebnissen ist dann im 3. Quartal 2022 zu rechnen. In den Vereinigten Staaten wurde aus dem Verkauf von Arzneimitteln zur Wiederherstellung von Dystrophin im Jahr 2021 ein Umsatz von über 600 Millionen US-Dollar erzielt. Derzeit werden die Medikamente zur Wiederherstellung von Dystrophin mit Steroiden kombiniert und vorwiegend an jüngere gefähige DMD-Patienten verabreicht. Im Rahmen von Kontrollstudien muss allerdings noch gezeigt werden, ob diese Kombination den Verlust der Gefähigkeit weiter hinauszögern kann als die alleinige Verabreichung von Steroiden. Damit wird die faszinierende Möglichkeit einer neuen Kombinationstherapie hervorgehoben, die den DMD-Patienten einen realen Nutzen bringen kann.

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