

13. Juli 2022

Antrag auf Genehmigung einer klinischen Prüfung zu ATL1102 bei Duchenne-Muskeldystrophie in Europa gestellt

Antisense Therapeutics Limited [ASX: ANP | US OTC: ATHJY | FWB: AWY] (ANP oder das Unternehmen) freut sich mitteilen zu können, dass das Unternehmen seinen ersten Antrag auf Genehmigung einer klinischen Prüfung (Clinical Trial Application/CTA) für die Durchführung einer klinischen Phase-IIb/III-Studie zur Anwendung von ATL1102 bei nicht gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) in Deutschland zur Prüfung und anschließenden Genehmigung des Antrags eingereicht hat.

Dies ist ein bedeutender Meilenstein für ANP, der die intensiven Bemühungen des Unternehmens in Zusammenhang mit der Festlegung einer, mit der Europäischen Arzneimittelagentur abgestimmten, klinischen und regulatorischen Vorgehensweise sowie der Vorbereitung des umfangreichen Dokumentationspakets, das von den Aufsichtsbehörden für die Studiengenehmigung verlangt wird, verdeutlicht. Das Unternehmen arbeitet nach wie vor eng mit seinem Partner, der klinischen Forschungsorganisation Parexel, zusammen, um das Zulassungsverfahren für das Programm in Europa voranzubringen, und wird laufend über wesentliche Fortschritte berichten.

Gleichzeitig ist das Unternehmen mit der eingehenden Evaluierung seiner klinischen Pläne für ATL1102 bei DMD befasst. Hier geht es vor allem darum, die vorhandenen Barreserven so effektiv wie möglich einzusetzen, um den anfänglichen Kapitalbedarf zu reduzieren und den Cash Runway entsprechend zu verlängern. Das Unternehmen ist der Meinung, dass diese Schwerpunktsetzung im Kapitalmanagement, einschließlich der Sondierung des Finanzierungsbedarfs und der Möglichkeiten für die Beschaffung zukünftiger Finanzmittel (je nach Bedarf), angesichts der derzeitigen schwierigen Marktlage sehr vernünftig und umsichtig ist.

Das Unternehmen bleibt seinem DMD-Programm verpflichtet und wird die nächste klinische Studie zu ATL1102 bei DMD ehestmöglich einleiten, um die klinische Entwicklung zum Nutzen der DMD-Patienten sowie der gesamten Duchenne-Community entsprechend zu forcieren.

Das Unternehmen rechnet damit, schon in den kommenden Wochen ein detaillierteres Programm-Update vorlegen zu können, sobald die Planung im Einklang mit den vorgenannten Erwartungen genügend ausgereift ist.

Diese Mitteilung wurde vom Board des Unternehmens zur Veröffentlichung freigegeben.

Nähere Informationen erhalten Sie über:

Antisense Therapeutics

Mark Diamond
Managing Director
+61 (0)3 9827 8999
www.antisense.com.au

Anlegerkontakt

Gennadi Koutchin
XEC Partners
gkoutchin@xecpartners.com.au
1300 932 037

US/Europa IR & Medien

Laine Yonker/Joe Green
Edison Investor Relations
lyonker@edisongroup.com
+1 646-653-7035

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. ATL1102 ist das einzige auf CD49d abzielende Medikament in der klinischen Entwicklung für DMD.

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).

Rosenberg AS, Puig M, Nagaraju K, et al. Immune-mediated pathology in Duchenne muscular dystrophy. Sci Transl Med 2015, 7: 299rv4.

Bushby et al for the DMD Care Consideration Working Group/ Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1 Lancet Neurol. 2010 Jan;9(1):77-93 and part 2 Lancet Neurol. 2010 Feb;9(2):177-89.

Pinto-Mariz F, Carvalho LR, Araújo AQC, et al. CD49d is a disease progression biomarker and a potential target for immunotherapy in Duchenne muscular dystrophy. Skeletal Muscle 2015, 5: 45-55.

Shieh et al, Deflazacort versus prednisone/prednisolone for maintaining motor function and delaying loss of ambulation: A post HOC analysis from the ACT DMD trial. Muscle Nerve. 2018 Nov; 58(5): 639–645. Muscle & Nerve November 2018 639.

*Pane M, Coratti G, Brogna C, Mazzone ES, Mayhew A, Fanelli L, Mercuri E et al. (2018) Upper limb function in Duchenne muscular dystrophy: 24 month longitudinal data. PLoS ONE 13(6): e0199223.
<https://doi.org/10.1371/journal.pone.0199223>*

Ward L.M, Hadjiyannakis, S, McMillan, HJ, Noritz, G, and Weber, DR, Bone Health and Osteoporosis Management of the Patient With Duchenne Muscular Dystrophy. Pediatrics. 2018 October; 142(Suppl 2): S34–S42. doi:10.1542/peds.2018-0333E.

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!