

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea schliesst Vereinbarung mit Adult Brain Tumor Consortium über klinische Studie zur Erprobung von BAL101553 bei neu diagnostiziertem Glioblastom

- Das Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) ist darauf ausgerichtet, effektivere Behandlungsmethoden für bösartige Hirntumore zu entwickeln. Es wird vom US-amerikanischen National Cancer Institute (NCI) finanziert.
- Das ABTC wird eine klinische Phase-1-Studie mit Basileas neuartigem Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553 durchführen, in der die Sicherheit und Verträglichkeit des Wirkstoffs bei Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom untersucht wird.

**Basel, 12. Juni 2017** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass sie mit dem Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) eine Vereinbarung für eine klinische Studie mit BAL101553 geschlossen hat, Basileas neuartigem Medikamentenkandidaten für die Krebsbehandlung. Das Konsortium wird eine klinische Phase-1-Studie durchführen, bei der die Sicherheit und Verträglichkeit der oralen Darreichungsform des Wirkstoffs in Kombination mit Standard-Strahlentherapie bei Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom untersucht wird. Die Studie umfasst Patienten, die aufgrund eines unmethylierten MGMT-Promotors weniger gut auf Standard-Chemotherapie ansprechen. Der Methylierungsstatus des MGMT-Promotors ist ein wichtiger molekulargenetischer Marker bei Glioblastom.

Prof. Achim Kaufhold, Chief Medical Officer von Basilea, sagte: „Es besteht ein hoher medizinischer Bedarf an neuen Substanzen zur Behandlung von Glioblastom-Patienten, die einen unmethylierten MGMT-Promotor aufweisen. Diesen Patienten stehen heute weniger therapeutische Optionen zur Verfügung als solchen mit methyliertem MGMT-Promotor und sie haben eine schlechtere Prognose. Wir sind sehr erfreut, bei der Entwicklung einer dringend benötigten potenziellen neuen Behandlungsoption für diese Patientengruppe im Kampf gegen Hirntumore mit dem ABTC zusammenzuarbeiten.“

Das ABTC ist darauf ausgerichtet, effektivere Behandlungsmethoden für bösartige Hirntumore zu entwickeln. Es umfasst elf Hirntumor-Zentren an führenden Universitäten in den Vereinigten Staaten und wird vom US-amerikanischen National Cancer Institute (NCI) finanziert.

Glioblastom ist der häufigste primäre Hirntumor und zählt zu den Krebsarten mit der höchsten Sterblichkeit. Die Häufigkeit von Glioblastom liegt in den Vereinigten Staaten bei circa 3 Patienten pro 100,000.<sup>1</sup> Bei erwachsenen Glioblastom-Patienten, die eine Behandlung gemäss derzeitigem Therapiestandard<sup>2</sup> erhielten, beträgt die durchschnittliche Überlebensrate (Median) 15 Monate ab Diagnosestellung, bei einer 5-Jahres-Überlebensrate von 5%.<sup>1</sup> Es wird geschätzt, dass etwa 55% der neu diagnostizierten Glioblastom-Patienten einen unmethylierten MGMT-Promotor haben. Diese Patienten haben zudem eine schlechtere Prognose als solche mit einem methylierten MGMT-Promotor.

Die Dosis-Eskalationsstudie wird an Studienzentren von ABTC-Mitgliedern in den Vereinigten Staaten durchgeführt, unter Koordination der Johns Hopkins University School of Medicine. Die Studienkosten werden grösstenteils vom ABTC getragen. Der Beginn der Studie ist für das dritte Quartal 2017 vorgesehen.

## Über BAL101553

Basileas niedermolekularer Medikamentenkandidat BAL101553 (Prodrug des Wirkstoffs BAL27862)<sup>4</sup> wird für die potenzielle Behandlung verschiedener Krebserkrankungen entwickelt. BAL101553 befindet sich derzeit in Phase 1/2a der klinischen Erprobung bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren oder Glioblastom (Hirntumor). In präklinischen Studien zeigte der Medikamentenkandidat In-vitro- und In-vivo-Wirksamkeit in verschiedenen behandlungsresistenten Krebsmodellen, darunter solchen, die auf konventionelle Medikamente und Bestrahlung nicht ansprechen.<sup>5, 6, 7</sup> BAL101553 verteilt sich effizient im Hirngewebe und zeigt Antikrebs-Wirksamkeit in Glioblastom-Modellen.<sup>8, 9, 10</sup> Die aktive Wirksubstanz BAL27862 bindet an die Colchicin-Bindungsstelle von Tubulin, was spezifische Auswirkungen auf die Mikrotubuli-Anordnung hat.<sup>11</sup> Dadurch kommt es zur Aktivierung des sogenannten „Spindle-Assembly-Checkpoints“, der das Absterben von Tumorzellen fördert.<sup>12</sup>

## Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung von Antibiotika, Antimykotika und Medikamenten zur Krebstherapie spezialisiert hat. Basileas Therapeutika zielen dabei auf die medizinische Herausforderung der zunehmenden Resistenzen gegen bzw. das Nicht-Ansprechen auf derzeitige Behandlungsmöglichkeiten ab. Mittels der integrierten Forschungs-, Entwicklungs- und Vermarktungsaktivitäten der Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG erforscht, entwickelt und vermarktet das Unternehmen innovative Medikamente, um den medizinischen Bedarf von Patienten zu adressieren, die an schweren und potenziell lebensbedrohlichen Krankheiten leiden. Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Für weitere Informationen besuchen Sie bitte die Unternehmens-Website [www.basilea.com](http://www.basilea.com).

## Über ABTC

Das Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) ist ein multi-institutioneller Zusammenschluss von Prüfärzten renommierter Einrichtungen in den Vereinigten Staaten. Das Konsortium wird vom US-amerikanischen National Cancer Institute (NCI) finanziert. Es führt innovative, multidisziplinäre klinische Studien der Phasen 1 und 2 durch. Dabei fokussiert es sich vor allem auf erwachsene Patienten mit Grad IV Gliom (Glioblastoma multiforme). Wie die Arbeit des ABTC zeigt, ist es nicht nur möglich, klinische Studien in diesem herausfordernden Tumortyp durchzuführen, vielmehr stellen solche Studien auch die beste Chance dar, weitere Fortschritte im Kampf gegen diese schwerwiegende Erkrankung zu erzielen. Weitere Informationen finden Sie unter [www.abtconsortium.org](http://www.abtconsortium.org).

## Ausschlussklausel

Diese Mitteilung enthält explizit oder implizit gewisse zukunftsgerichtete Aussagen betreffend Basilea Pharmaceutica AG und ihrer Geschäftsaktivitäten. Solche Aussagen beinhalten bekannte und unbekannt Risiken und Unsicherheitsfaktoren, die zur Folge haben können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistungen oder Errungenschaften der Basilea Pharmaceutica AG wesentlich von denjenigen Angaben abweichen können, die aus den zukunftsgerichteten Aussagen hervorgehen. Diese Mitteilung ist mit dem heutigen Datum versehen. Basilea Pharmaceutica AG übernimmt keinerlei Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen im Falle von neuen Informationen, zukünftigen Geschehnissen oder aus sonstigen Gründen zu aktualisieren.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Peer Nils Schröder, PhD  
Head of Corporate Communications & Investor Relations  
+41 61 606 1102  
media\_relations@basilea.com  
investor\_relations@basilea.com

Diese Pressemitteilung ist unter [www.basilea.com](http://www.basilea.com) abrufbar.

#### Quellenangaben

- 1 Q. T. Ostrom et al. CBTRUS statistical report: primary brain and central nervous system tumors diagnosed in the United States in 2007–2011. *Neuro-Oncology* 2014 (16, Suppl 4), iv1-iv63
- 2 R. Stupp et al. Radiotherapy plus concomitant and adjuvant temozolomide for glioblastoma. *New England Journal of Medicine* 2005 (352), 987-996
- 3 M. E. Hegi et al. MGMT gene silencing and benefit from temozolomide in glioblastoma. *New England Journal of Medicine* 2005 (352) 997–1003
- 4 R. Bergès et al. The novel tubulin-binding checkpoint activator BAL101553 inhibits EB1-dependent migration and invasion and promotes differentiation of glioblastoma stem-like cells. *Molecular Cancer Therapeutics* 2016 (15), 2740-2749
- 5 A. Schmitt-Hoffmann et al. BAL27862: a unique microtubule-targeted agent with a potential for the treatment of human brain tumors. AACR-NCI-EORTC Konferenz 2009, Abstract C233; *Molecular Cancer Therapeutics* 2009, 8 (12 Supplement)
- 6 A. C. Mladek et al. The novel tubulin-binding 'tumor checkpoint controller' BAL101553 has anti-cancer activity alone and in combination treatments across a panel of GBM patient-derived xenografts. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2016, Abstract 4781
- 7 J. Pohlmann et al. BAL101553: An optimized prodrug of the microtubule destabilizer BAL27862 with superior antitumor activity. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2011, Abstract 1347; *Cancer Research* 2011, 71 (8 Supplement)
- 8 A. Broggini-Tenzer et al. The novel microtubule-destabilizing drug BAL101553 (prodrug of BAL27862) sensitizes a treatment refractory tumor model to ionizing radiation. EORTC-NCI-AACR Symposium 2014, Abstract 202
- 9 G. E. Duran et al. In vitro activity of the novel tubulin active agent BAL27862 in MDR1(+) and MDR1(-) human breast and ovarian cancer variants selected for resistance to taxanes. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2010, Abstract 4412
- 10 F. Bachmann et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): A unique microtubule destabilizer active against drug refractory breast cancers alone and in combination with trastuzumab. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2014, Abstract 831
- 11 A. E. Prota et al. The novel microtubule-destabilizing drug BAL27862 binds to the colchicine site of tubulin with distinct effects on microtubule organization. *Journal of Molecular Biology* 2014 (426), 1848-1860
- 12 F. Bachmann et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): the spindle assembly checkpoint is required for anticancer activity. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2015, Abstract 3789