

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea präsentiert verbesserte Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2017 aufgrund gesteigerter Produktumsätze - signifikante Fortschritte bei Partnerschaften und in Entwicklungsprogrammen

- **Lizenzvereinbarung mit Pfizer über Cresemba in Europa (die nordischen Länder ausgenommen), Russland, der Türkei und Israel; CHF 70 Mio. Abschlagszahlung und bis zu USD 427 Mio. Meilensteinzahlungen**
- **Gesamtumsatz um 56 Prozent auf CHF 46.2 Mio. gesteigert**
- **Zusage von zusätzlichen USD 54.8 Mio. von BARDA zur Unterstützung der Phase-3-Entwicklung von Ceftobiprol für eine Zulassung in den USA**
- **Vereinbarung mit dem Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) über eine klinische Phase-1-Studie zur Erprobung von BAL101553 bei neu diagnostiziertem Glioblastom**

**Basel, 10. August 2017** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute ihre Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2017 bekannt. In Europa stiegen die Produktumsätze von Cresemba® (Isavuconazol) und Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol) auf CHF 9.8 Mio. (H1 2016: CHF 1.9 Mio.; +416 % im Jahresvergleich). Zusätzlich wurden umsatzabhängige Lizenzgebühren (Royalties) auf US-Verkäufe von Cresemba in Höhe von CHF 5.2 Mio. (H1 2016: CHF 3.0 Mio.; +73 %) erzielt. Der Gesamtumsatz belief sich auf CHF 46.2 Mio. (H1 2016: 29.7 Mio.; +56 %). Zum 30. Juni 2017 verfügte Basilea über liquide Mittel und Finanzanlagen in Höhe von CHF 253.1 Mio. und wies einen deutlich verringerten operativen Verlust in Höhe von CHF 17.7 Mio. (H1 2016: CHF 24.8 Mio.; -29 %) aus.

Ronald Scott, Basileas Chief Executive Officer, sagte: „Wir freuen uns über die starke Umsatzentwicklung von Cresemba in Europa und den USA, die zeigt, dass das Medikament zunehmend als wichtige Therapieoption bei der Behandlung von Patienten mit potenziell lebensbedrohlichen Pilzinfektionen anerkannt wird. Unsere kürzlich abgeschlossene Lizenzvereinbarung mit Pfizer ist ein weiterer wichtiger Schritt in Richtung unseres Ziels, den globalen Wert unserer Produkte zu maximieren.“

### **Antifektiva: Abschluss bedeutender Partnerschaften in wichtigen weiteren Märkten**

Im Juni kündigte Basilea eine Lizenzvereinbarung mit Pfizer für das Antimykotikum Cresemba an, die mehr als 40 Länder in Europa (die nordischen Länder ausgenommen), Russland sowie die Türkei und Israel umfasst. Der formelle Abschluss der Transaktion erfolgte am 19. Juli 2017, woraufhin Basilea eine Abschlagszahlung von CHF 70 Mio. erhielt. Verkäufe von Cresemba in Europa werden seit dem formellen Abschluss der Vereinbarung von Pfizer verbucht, wobei Basilea auf die von Pfizer erzielten Umsätze Lizenzgebühren im mittleren Zehn-Prozentbereich erhält. Zudem hat Basilea im Rahmen der Lizenzvereinbarung bei Erreichen definierter regulatorischer und kommerzieller Meilensteine Anspruch auf weitere Zahlungen in Höhe von bis zu USD 427 Mio.

Ebenfalls im Juni konnte Basilea durch Abschluss einer Vereinbarung mit Avir Pharma Inc. über den Vertrieb von Isavuconazol und Ceftobiprol auf dem kanadischen Markt ihren bestehenden Vertriebsvereinbarungen für Lateinamerika (Grupo Biotoscana S.L.), die nordischen Länder (Unimedica Pharma AB) und die MENA-Region, also Naher Osten und Nordafrika (Hikma Pharmaceuticals LLC) einen weiteren Partner hinzufügen. Im ersten Halbjahr 2017 wurden aus diesen Vertriebspartnerschaften erste Produktumsätze erzielt. Basilea erwartet, dass diese im Laufe der nächsten Jahre stetig wachsen werden, wenn nach erfolgter Marktzulassung die Medikamente in weiteren Ländern eingeführt werden.

Für Japan erteilte Basilea Asahi Kasei Pharma Corporation eine Lizenz für die Entwicklung und Vermarktung von Isavuconazol. Asahi Kasei Pharma führt derzeit ein verkürztes klinisches Entwicklungsprogramm durch. Eine Phase-1-Studie mit japanischen Probanden konnte von Asahi Kasei erfolgreich abgeschlossen werden. Asahi Kasei plant nun die Durchführung einer Phase-3-Studie, die derzeit mit den japanischen Zulassungsbehörden besprochen wird.

### **Zusätzliche Finanzmittel von BARDA zur Unterstützung der Phase-3-Entwicklung von Ceftobiprol für den US-Markt**

Basilea erhielt im Juni 2017 von der BARDA (Biomedical Advanced Research and Development Authority) die Zusage über zusätzliche USD 54,8 Mio., die in Form von Kostenerstattungen im Rahmen des bestehenden Vertrags zur Finanzierung der klinischen Phase-3-Entwicklung von Ceftobiprol zur Verfügung gestellt werden, um die Entwicklung in Richtung der möglichen Einreichung eines Zulassungsantrags in den USA voranzutreiben. Anfänglich stellte BARDA Finanzmittel in Höhe von rund USD 20 Mio. für die Vorbereitung des Phase-3-Programms zur Verfügung. Das gesamte Volumen des BARDA-Vertrags könnte innerhalb von viereinhalb Jahren (beginnend mit 2016) eine Summe von USD 108 Mio. erreichen, wenn vordefinierte Meilensteine erreicht werden. Basierend auf der Vereinbarung mit der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA über Special Protocol Assessments für zwei Phase-3-Studien mit Ceftobiprol – eine in *Staphylococcus-aureus*-Bakteriämie (SAB) und eine in akuten bakteriellen Haut- und Hautstrukturinfektionen (ABSSI) – bereitet Basilea derzeit den Start dieser Studien vor.

### **Zwei Onkologie-Produktkandidaten in der klinischen Entwicklung: der Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553 und der panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor BAL3833**

In den klinischen Onkologieprojekten wurden ebenfalls wichtige Fortschritte erzielt. Basilea setzte die Erprobung der Sicherheit und Verträglichkeit seines Tumor-Checkpoint-Controllers BAL101553 in zwei Phase-1/2a-Studien an Patienten mit soliden Tumoren fort. In der ersten Studie wird die orale Gabe untersucht, in der zweiten Studie die kontinuierliche Infusion als alternatives Dosierungsschema. Aufgrund vielversprechender präklinischer Daten wurde die orale Studie Ende 2016 um einen separaten Arm für Patienten mit rezidiviertem oder fortschreitendem Glioblastom nach vorheriger Strahlentherapie mit und ohne Chemotherapie ergänzt. Glioblastom ist der häufigste Hirntumor und eine der am häufigsten zum Tode führenden Krebsarten. Interimsdaten aus diesen Studien an Patienten mit soliden Tumoren wurden im Juni auf der Tagung der American Society of Clinical Oncology (ASCO) präsentiert.

Für die weitere Untersuchung des Potenzials von BAL101553 bei Glioblastom plant Basilea in Zusammenarbeit mit dem *Adult Brain Tumor Consortium* (ABTC), welches vom US *National Cancer Institute* finanziert wird, eine klinische Phase-1-Studie mit BAL101553 durchzuführen, in der die Sicherheit und Verträglichkeit des Wirkstoffs in Kombination mit einer Standard-Strahlentherapie bei Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom untersucht wird, die aufgrund eines unmethylierten MGMT-Promotors weniger gut auf Standard-Chemotherapie ansprechen. Der MGMT-Promotor-Status ist ein wichtiger prognostischer molekulargenetischer Marker bei Glioblastom. Heute stehen Patienten mit einem unmethylierten MGMT-Promotor weniger therapeutische Optionen zur Verfügung als solchen mit methyliertem MGMT-Promotor, und sie haben eine schlechtere Prognose.

BAL3833 befindet sich derzeit in einer Phase-1-Studie, bei der steigende Dosierungen von oral verabreichtem BAL3833 an Patienten mit soliden Tumoren, einschliesslich metastasiertem Melanom, erprobt werden. Sponsor der Studie ist der Royal Marsden NHS Foundation Trust, ein Partner des Institute of Cancer Research, London, wo der Wirkstoff entwickelt wurde. BAL3833 blockiert BRAF und CRAF und hemmt auch die SRC-Kinase-Familie, die jeweils eine wichtige Rolle bei der Übertragung von Zellwachstums- und Proliferationssignalen spielen. Eine Fehlsteuerung der Signalübertragung steht im Zusammenhang mit Tumorwachstum und der Entwicklung von Resistenzen gegenüber derzeitigen Behandlungsoptionen.

### **Fokus in nächster Zeit liegt auf steigenden Produktumsätzen und dem Erzielen von Fortschritten in der Pipeline**

Ronald Scott, CEO von Basilea, kommentierte: „Ein unmittelbarer Fokus liegt für uns darauf, Pfizer bei der Vorbereitung der Vermarktung von Cresemba in wichtigen europäischen Märkten zu unterstützen. Wir gehen davon aus, dass Pfizer in der Lage sein wird, den Produktumsatz in Europa weiter zu erhöhen. An diesen partizipieren wir über Royalties und mögliche umsatzabhängige Meilensteinzahlungen. Bereits heute erstrecken sich Basileas Partnerschaften auf über achtzig Länder weltweit. In den wenigen verbleibenden relevanten Märkten, wie beispielsweise Asien-Pazifik und China, arbeiten wir am Abschluss weiterer Vertriebsvereinbarungen für Cresemba und Zevtera. Darüber hinaus sind wir dabei, Optionen für Partnerschaften für Zevtera in Europa zu erschliessen. Zudem ist im vierten Quartal dieses Jahres der Beginn der klinischen Phase-3-Studie mit Ceftobiprol bei Hautinfektionen sowie im ersten Teil von 2018 der Beginn der Studie bei Blutbahninfektionen vorgesehen, welche beide im Rahmen des Vertrags mit BARDA durchgeführt werden.“

In Zusammenarbeit mit der ABTC plant Basilea im vierten Quartal dieses Jahres den Beginn der Phase-1-Kombinationsstudie mit BAL101553 bei Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom. Zudem erwartet Basilea, die Patientenrekrutierung für die Phase-1/2a-Studie zur oralen Gabe von BAL101553 bei soliden Tumoren Ende dieses Jahres abzuschliessen. Für die separate Glioblastom-Patientengruppe in dieser Studie sowie die Studie mit kontinuierlicher Infusion wird mit dem Abschluss der Patientenrekrutierung in der ersten Jahreshälfte 2018 gerechnet. In den nächsten sechs bis neun Monaten soll zudem die Patientenrekrutierung in der Phase-1-Studie mit BAL3833 abgeschlossen werden.

## Wesentliche Kennzahlen

<i>(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)</i>	<b>H1 2017</b>	<b>H1 2016</b>
Umsatz aus Produktverkäufen	9.8	1.9
Umsatz aus Verträgen	31.2	27.8
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen	0.1	0.0
Sonstiger Ertrag	5.0	0.0
<b>Umsatz gesamt</b>	<b>46.2</b>	<b>29.7</b>
Kosten für verkaufte Produkte	(3.5)	(3.0)
Forschungs- und Entwicklungsaufwand, netto	(26.4)	(24.8)
Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(33.9)	(26.8)
<b>Kosten und Betriebsaufwand gesamt</b>	<b>(63.9)</b>	<b>(54.6)</b>
<b>Betriebsverlust</b>	<b>(17.7)</b>	<b>(24.8)</b>
<b>Konzernverlust</b>	<b>(20.6)</b>	<b>(27.9)</b>
Netto-Kapitalabfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(36.6)	(53.7)
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(1.90)	(2.76)

<i>(In Mio. CHF)</i>	<b>30. Juni 2017</b>	<b>31. Dez. 2016</b>
Liquide Mittel und Finanzanlagen	253.1	289.0

Anmerkung: Konsolidierte Zahlen gemäss US GAAP; Rundungen wurden konsistent vorgenommen

Der ungeprüfte verkürzte konsolidierte Zwischenabschluss der Basilea Pharmaceutica AG für das erste Halbjahr 2017 ist auf der Internetseite der Gesellschaft einsehbar unter: <http://interimreport.basilea.com>

## Zusammenfassung der Finanzergebnisse

Im ersten Halbjahr 2017 stiegen die Produktumsätze auf CHF 9.8 Mio. (H1 2016: CHF 1.9 Mio.). Der Umsatz aus Verträgen belief sich in dieser Periode auf CHF 31.2 Mio. (H1 2016: CHF 27.8 Mio.), inklusive CHF 18.8 Mio. (H1 2016: CHF 18.8 Mio.) im Zusammenhang mit der globalen Vereinbarung für Toctino® und CHF 11.3 Mio. (H1 2016: CHF 9.1 Mio.) im Zusammenhang mit der Lizenzvereinbarung mit Astellas bezüglich Isavuconazol. Der gesamte Umsatz, einschliesslich Umsatz aus Produktverkäufen, erhöhte sich im ersten Halbjahr 2017 auf CHF 46.2 Mio. (H1 2016: CHF 29.7 Mio.).

Der Forschungs- und Entwicklungsaufwand belief sich auf CHF 26.4 Mio. (H1 2016: CHF 24.8 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit dem Ceftobiprol-Phase-3-Programm für die USA, der Phase-1/2a-Entwicklung des Krebsmedikament-Kandidaten BAL101553, der klinischen Phase-1-Entwicklung des Krebsmedikament-Kandidaten BAL3833, den Kosten für das pädiatrische Entwicklungsprogramm für Ceftobiprol und Aktivitäten im Zusammenhang mit Isavuconazol.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand betrug CHF 33.9 Mio. (H1 2016: CHF 26.8 Mio.) und enthielt Kosten im Zusammenhang mit der Kommerzialisierung von Cresemba

und Zevtera/Mabelio in wichtigen europäischen Märkten. Der Anstieg um CHF 7.1 Mio. im Vergleich zum ersten Halbjahr 2016 beruht hauptsächlich auf gestiegenen Investitionen in die Vermarktung von Cresemba im Anschluss an die im zweiten Halbjahr 2016 erfolgte Lancierung in weiteren Ländern.

Der Betriebsverlust konnte im ersten Halbjahr 2017 um 28.6 % auf CHF 17.7 Mio. reduziert werden (CHF 24.8 Mio. im ersten Halbjahr 2016), und der Konzern-Halbjahresverlust sank auf CHF 20.6 Mio. (H1 2016: CHF 27.9 Mio.). Dies führte zu einem niedrigeren nicht verwässerten und verwässerten Verlust je Aktie von CHF 1.90 (H1 2016: CHF 2.76).

Der Netto-Kapitalabfluss durch operative Geschäftstätigkeit belief sich im ersten Halbjahr 2017 auf CHF 36.6 Mio., im Vergleich zu CHF 53.7 Mio. im ersten Halbjahr 2016. Diese Verbesserung im Vergleich zum ersten Halbjahr 2016 ist im Wesentlichen auf die gestiegenen Umsätze aus dem Medikamentenverkauf und höhere Royalties zurückzuführen.

Zum 30. Juni 2017\* verfügte Basilea über liquide Mittel und Finanzanlagen in Höhe von CHF 253.1 Mio., verglichen mit CHF 289.0 Mio. zum 31. Dezember 2016.

\* (vor Erhalt der Abschlagszahlung von Pfizer)

## Finanzieller Ausblick

Basilea fokussiert sich weiterhin darauf, die Umsätze aus ihren zwei vermarkteten Medikamenten zu steigern sowie darauf, ihre klinische Entwicklungspipeline weiter voranzutreiben. Basilea aktualisiert ihren finanziellen Ausblick für das Jahr 2017. Da Cresemba-Verkäufe nach formellem Abschluss der Transaktion von Pfizer verbucht werden, erwartet Basilea nun für das Jahr 2017 eigene Produktverkäufe im Umfang von rund CHF 13 Mio. sowie eine Beteiligung an Verkäufen durch Partner in Form umsatzabhängiger Lizenzeinnahmen (Royalties) in Höhe von etwa CHF 15 Mio. Erwartet werden zudem ein Betriebsaufwand (nach erwarteten BARDA-Erstattungen) von durchschnittlich CHF 9-10 Mio. pro Monat und ein durchschnittlicher Betriebsverlust von rund CHF 2 Mio. pro Monat.

## Portfolio-Status

**Cresemba (Isavuconazol)** – ein intravenös (i. v.) und oral verabreichbares Antimykotikum aus der Wirkstoffklasse der Azole gegen invasive Schimmelpilzinfektionen

Isavuconazol ist ein i. v. und oral verabreichbares Antimykotikum aus der Wirkstoffklasse der Azole und die aktive Wirksubstanz des Prodrugs Isavuconazoniumsulfat. In Europa erhielt Isavuconazol eine Zulassung für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose und für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, für die Amphotericin B unangemessen ist.<sup>1</sup> Das Medikament ist in den Vereinigten Staaten zugelassen für Patienten ab 18 Jahren bei der Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose.<sup>2</sup> Es wird erwartet, dass die Swissmedic im Jahr 2017 ihre Prüfung des von Basilea gestellten Marktzulassungsantrags für Isavuconazol in der Schweiz abschliessen wird. Isavuconazol hat Orphan-Drug-Status für die zugelassenen Indikationen in Europa und den USA und erhielt von der US-Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) unter der Generating Antibiotics Incentives Now (GAIN)-Initiative den Status eines Qualified Infectious Disease Product (QIDP). Basilea hat Lizenz- und Vertriebsvereinbarungen für Isavuconazol in den USA, der Region Naher Osten und Nordafrika (MENA), Lateinamerika, Europa, Russland, der Türkei, Israel und Kanada abgeschlossen. Das Medikament wird unter dem Markennamen Cresemba gehandelt. In Europa wird es aktuell in Deutschland, Italien, Grossbritannien, Frankreich und Österreich vertrieben. Pfizer wird voraussichtlich bis Ende 2017 die Verantwortung für die Kommerzialisierung von Cresemba in Europa (mit Ausnahme der nordischen Länder) übernehmen. Basileas Lizenzpartner Astellas Pharma US vermarktet das Produkt in den USA. Ausserhalb der USA und der Europäischen Union ist Isavuconazol aktuell nicht zugelassen.

**Zevtera/Mabelio (Ceftobiprol)** – ein intravenös verabreichbares Antibiotikum aus der Wirkstoffklasse der Cephalosporine mit rascher bakterizider Wirkung gegenüber einem breiten Spektrum grampositiver und gramnegativer Bakterien, einschliesslich Methicillin-empfindlicher und Methicillin-resistenter *Staphylococcus aureus* (MSSA, MRSA) und empfindlicher Stämme von *Pseudomonas spp.*

Ceftobiprol verfügt in 13 europäischen Ländern sowie mehreren Ländern ausserhalb Europas über nationale Zulassungen zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit ambulant (CAP) oder im Spital erworbener Lungenentzündung (HAP), mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie (VAP).<sup>3</sup> Die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA erteilte Ceftobiprol den Status eines Qualified Infectious Disease Product (QIDP) zur potenziellen Behandlung ambulant erworbener bakterieller Lungenentzündung (CABP) und akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen (ABSSSI). Das Medikament wird aktuell in Deutschland, Italien, Grossbritannien, Frankreich, Österreich und der Schweiz unter dem Produktnamen Zevtera oder Mabelio vermarktet. Basilea hat für das Produkt Vertriebsvereinbarungen für Lateinamerika, den Nahen Osten und Nordafrika (MENA-Region), Kanada und die nordischen Länder abgeschlossen. Basilea bereitet die Durchführung eines klinischen Phase-3-Programms vor, um die regulatorische Zulassung für Ceftobiprol in den USA zu erlangen. Dieses besteht aus zwei sich wechselseitig unterstützenden Phase-3-Studien, eine in der Behandlung von *Staphylococcus aureus*-Bakteriämie (SAB), die andere im Bereich akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen (ABSSSI). Basilea hat für beide Studien Vereinbarungen über Special Protocol Assessments mit der US-Zulassungsbehörde FDA getroffen. Das Entwicklungsprogramm wird von Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA) - US-Gesundheitsministerium, Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response - unter der Vertragsnummer HHSO100201600002C finanziell unterstützt. Der 2016 abgeschlossene Vertrag könnte über eine Periode von 4.5 Jahren einen Gesamtbetrag von rund USD 108 Mio. umfassen, sofern gewisse bereits definierte Meilensteine erreicht werden.

**BAL101553** – ein niedermolekularer Tumor-Checkpoint-Controller in Phase 1/2a der klinischen Erprobung bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren, einschliesslich wieder aufgetretenem oder fortschreitendem Glioblastom

Der Produktkandidat BAL101553 (Prodrug von BAL27862)<sup>4</sup> wird für die potenzielle Behandlung unterschiedlicher Krebserkrankungen entwickelt. Basilea erforscht derzeit die einmal tägliche orale Gabe von BAL101553 in einer *Open-label*-Phase-1/2a-Studie bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren. Ende 2016 wurde diese Studie erweitert, um auch Patienten mit wieder aufgetretenem oder fortschreitendem Glioblastom einzuschliessen, die zuvor Strahlentherapie mit oder ohne zusätzliche Chemotherapie erhalten hatten. In einer weiteren Phase-1/2a-Studie untersucht Basilea als alternative Dosierungsform von BAL101553 die einmal wöchentliche kontinuierliche Infusion über einen Zeitraum von 48 Stunden zur Behandlung solider Tumore. Im Juni 2017 unterzeichnete Basilea mit dem US-amerikanischen Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) eine Vereinbarung über die Durchführung einer klinischen Phase-1-Studie, in der die Sicherheit und Wirksamkeit von BAL101553 in Kombination mit Standard-Strahlentherapie untersucht werden soll. In die Studie aufgenommen werden Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom, die aufgrund eines unmethylierten MGMT-Promotors weniger gut auf die Standard-Chemotherapie mit Temozolomid ansprechen. Der MGMT-Promotor-Status ist ein wichtiger prognostischer molekulargenetischer Biomarker bei Glioblastom. In präklinischen Studien zeigte die aktive Wirksubstanz des Prodrugs, BAL27862, *In-vitro*- und *In-vivo*-Wirksamkeit in verschiedenen behandlungsresistenten Krebsmodellen, darunter solchen, die auf konventionelle Medikamente und Bestrahlung nicht ansprachen.<sup>5, 6, 7</sup> BAL101553 verteilte sich effizient im Hirngewebe und zeigte Antikrebs-Wirksamkeit in verschiedenen Glioblastom-Modellen.<sup>8, 9, 10</sup> 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>

**BAL3833** – ein oral verabreichbarer Medikamentenkandidat für die Krebstherapie (panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor) in Phase 1 der klinischen Entwicklung, der sich gegen Tumorstadium und Therapieresistenzen richtet

BAL3833 (auch bekannt als CCT3833) ist ein oral verabreichbarer, niedermolekularer Produktkandidat, der von Basilea einlizenziiert wurde. Als panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor kann er sowohl BRAF und CRAF blockieren als auch die SRC-Kinase-Familie hemmen. Die Substanz wurde von Wissenschaftlern am Institute of Cancer Research entwickelt, einem renommierten englischen Krebsforschungszentrum mit Sitz in London, mit finanzieller Unterstützung durch Cancer Research UK und den Wellcome Trust. Derzeit wird BAL3833 im Rahmen einer klinischen Phase-1-Dosisfindungsstudie unter täglicher oraler Gabe mit erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren, einschliesslich metastasiertem Melanom, erforscht. RAF- und SRC-Kinasen spielen eine wichtige Rolle bei der Übertragung von Signalen für Zellwachstum und Proliferation. Eine Fehlsteuerung der Signalübertragung wird mit Tumorstadium und der Entwicklung von Resistenzen gegenüber derzeitigen Behandlungsoptionen in Verbindung gebracht. So steht insbesondere das Melanom oft mit einer mutierten BRAF-Kinase im Zusammenhang. In präklinischen Studien zeigte BAL3833 Aktivität in einer Reihe von Melanom-Modellen, die basierend auf Krebszellen von Patienten entwickelt wurden und eine intrinsische oder erworbene Resistenz gegenüber spezifischen BRAF-Inhibitoren aufweisen.<sup>13</sup> Darüber hinaus zeigte BAL3833 auch Aktivität in Tumormodellen, die auf Dickdarm-, Bauchspeicheldrüsen- und Lungenkrebs basieren und bei denen aufgrund einer genetischen Varianz der RAF-Signalweg aktiviert ist.<sup>14</sup>

## Telefonkonferenz

Basilea Pharmaceutica AG lädt am Donnerstag, 10. August 2017, um 16:00 Uhr (MESZ) zu einer Telefonkonferenz ein, um den Inhalt dieser Pressemitteilung zu besprechen.

Die Einwahlnummern sind:

+41 (0) 58 310 5000 (Europa und RoW)  
+1 (1) 866 291 4166 (USA)  
+44 (0) 203 059 5862 (UK)

Eine Aufzeichnung wird eine Stunde nach der Telefonkonferenz zur Verfügung gestellt und kann bis Montag, 14. August 2017, um 18:00 Uhr (MESZ) abgerufen werden.

Teilnehmer, die sich die Aufzeichnung anhören möchten, wählen:

+41 (0) 91 612 4330 (Europa und ROW)  
+1 (1) 866 416 2558 (USA)  
+44 (0) 207 108 6233 (UK)

und werden gebeten, die ID 15340 gefolgt vom # Zeichen einzugeben.

## Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen mit vermarkteten Produkten, das sich auf die Entwicklung und Kommerzialisierung von Medikamenten spezialisiert hat, die auf die medizinische Herausforderung der zunehmenden Resistenzen gegen bzw. das Nicht-Ansprechen auf derzeitige Behandlungsmöglichkeiten bei Infektionen durch Bakterien oder Pilze sowie in der Krebstherapie abzielen. Basilea erforscht, entwickelt und vermarktet innovative Medikamente für Patienten, 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).

## 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 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 European Public Assessment Report (EPAR) Cresemba: <http://www.ema.europa.eu> [Zugriff: 9. August 2017]
- 2 Cresemba [U.S. prescribing information](#) [Zugriff: 9. August 2017]
- 3 U.K. Summary of Product Characteristics (SPC) Zevtera®: <http://www.mhra.gov.uk/> [Zugriff: 9. August 2017]
- 4 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)
- 5 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
- 6 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
- 7 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
- 8 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
- 9 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)
- 10 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
- 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
- 13 M. R. Girotti et al. Paradox-breaking RAF inhibitors that also target SRC are effective in drug-resistant BRAF mutant melanoma. Cancer Cell 2015 (27), 85-96
- 14 G. Saturno et al. Therapeutic efficacy of the paradox-breaking panRAF and SRC drug CCT3833/BAL3833 in KRAS-driven cancer models. Jahrestagung der American Association for Cancer Research (AACR) 2016, Abstract LB-212