

PRESSEMITTEILUNG

Basilea gibt Halbjahresergebnisse bekannt, geprägt von starkem Wachstum der In-Market-Sales ihrer Produkte sowie vom Fortschritt und der Erweiterung ihrer F&E-Pipeline

- Gesamtumsatz um 30 % auf CHF 59.9 Mio. gesteigert, Ausblick für Gesamtumsatz 2018 auf CHF 120 – 130 Mio. erhöht
- Lizenzgebühren (*Royalties*) auf Cresemba-Umsätze auf CHF 10.8 Mio. mehr als verdoppelt
- Klinische Onkologie-Pipeline durch Einlizenzierung von Phase-2-panFGFR-Kinase-Inhibitor (Derazantinib) gestärkt
- Bedeutende Fortschritte in den klinischen Entwicklungsprogrammen erzielt
- CHF 247.3 Mio. liquide Mittel

Basel, 14. August 2018 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute die Finanzergebnisse für das erste Halbjahr bis 30. Juni 2018 bekannt.

Der Gesamtumsatz stieg auf CHF 59.9 Mio. (H1 2017: CHF 46.2 Mio.; +30 % gegenüber dem Vorjahreszeitraum). Die Umsatzbeiträge durch die vermarkteten Produkte Cresemba® und Zevtera® stiegen auf CHF 27.8 Mio. (H1 2017: CHF 22.2 Mio.; +25 %), einschliesslich der umsatzabhängigen Lizenzgebühren (*Royalties*) auf die Verkäufe von Cresemba, die sich auf CHF 10.8 Mio. mehr als verdoppelt haben (H1 2017: CHF 5.3 Mio.; +104 %). Per 30. Juni 2018 wies Basilea liquide Mittel und Finanzanlagen in Höhe von CHF 247.3 Mio. aus (Jahresende 2017: CHF 310.7 Mio.) sowie einen Betriebsverlust von CHF 20.4 Mio. im Vergleich zu CHF 19.1 Mio. im ersten Halbjahr 2017.

David Veitch, Chief Executive Officer, sagte: „Wir sind mit den starken Verkaufszahlen im ersten Halbjahr 2018 sehr zufrieden. Unsere Kommerzialisierungspartner konnten die Produktverkäufe in bestehenden Märkten weiter deutlich steigern und haben darüber hinaus unsere Antiinfektiva Cresemba und Zevtera in zusätzlichen Ländern auf den Markt gebracht. Wir haben wichtige klinische Studien für Ceftobiprol und BAL101553 initiiert und unsere Fähigkeit unter Beweis gestellt, unsere F&E-Pipeline zu erweitern.“

In den 12 Monaten bis März 2018 erzielte das Antimykotikum Cresemba bei weiterhin stark ansteigenden Umsätzen USD 120 Mio. „In-Market-Sales“

Seit Jahresbeginn 2018 hat Pfizer Cresemba in der Schweiz, Irland, Griechenland und den Niederlanden lanciert. Ausserdem erhielt Grupo Biotoscana die Marktzulassung für Cresemba in Peru und damit dem ersten Land ausserhalb der USA und Europa. Dies löste eine regulatorische Meilensteinzahlung in Höhe von CHF 2 Mio. an Basilea aus. Zum 31. März 2018 beliefen sich die kumulierten 12-Monats-In-Market-Sales von Cresemba auf USD 120 Mio. im Vergleich zu USD 62 Mio. in den 12 Monaten bis 31. März 2017.¹ Für die ersten sechs Monate 2018 berichtete Astellas Pharma Inc. Cresemba-Verkäufe in den USA in Höhe von USD 54 Mio. (H1 2017: USD 34 Mio.; +59 % im Jahresvergleich).

Correvio (früher: Cardiome) verzeichnete steigende Zevtera-Verkäufe in Europa. Zukünftig wird von einem beschleunigten Umsatzwachstum ausgegangen, zu dem zunehmend auch neue Märkte ausserhalb Europas, beispielsweise Argentinien, Kanada und Saudi-Arabien, beitragen werden.

Erweiterung von Basileas Onkologie-Pipeline

Im April 2018 schloss Basilea eine Lizenzvereinbarung mit ArQule, Inc. über deren Onkologie-Medikamentenkandidaten Derazantinib (BAL087) ab. Dieser befindet sich in der fortgeschrittenen klinischen Entwicklung. Das pharmakologische Target des Wirkstoffs sind die Kinasen der Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor (FGFR)- Familie. Die exklusive Lizenz gewährt Basilea die weltweiten Rechte an Derazantinib, mit Ausnahme der Region China. Basilea leistete eine Abschlagszahlung von USD 10 Mio. ArQule hat Anspruch auf Zahlungen von bis zu USD 326 Mio. bei Erreichen bestimmter klinischer, regulatorischer und kommerzieller Meilensteine sowie auf gestaffelte Lizenzgebühren im ein- bis zweistelligen Prozentbereich auf Produktumsätze, sobald das Produkt vermarktet wird.

Dr. Marc Engelhardt, Basileas Chief Medical Officer, sagte: „Als Teil unserer Strategie prüfen wir kontinuierlich Optionen zur weiteren Stärkung unseres F&E-Portfolios durch externe Innovationen. Der niedermolekulare Medikamentenkandidat Derazantinib passt gut zu unserer bestehenden Onkologie-Pipeline. Sein Target ist ein wichtiger Signalübertragungsweg, der als relevant für viele verschiedene Tumorarten gilt, bei denen Patienten nur über eingeschränkte Behandlungsoptionen verfügen. Derazantinib ermöglicht zudem ein klinisches Entwicklungsprogramm, das auf einer klaren Patientenauswahlstrategie aufbaut.“

Darüber hinaus ist Basilea eine weitere Lizenz- und Entwicklungspartnerschaft eingegangen. Das präklinische Projekt fokussiert sich auf die Biomarker-basierte Entwicklung selektiver und potenzieller First-in-Class-Inhibitoren einer Kinase, die an der Kontrolle der Chromosomen-Aufspaltung während der Zellteilung beteiligt ist.

Signifikante Fortschritte in den klinischen Entwicklungsprogrammen

In der ersten Hälfte 2018 hat Basilea signifikante Fortschritte in ihren klinischen Entwicklungsprogrammen erzielt:

Ceftobiprol-Phase-3-Programm für den Markteintritt in den USA vorangetrieben

Basilea hat das aus zwei sich wechselseitig unterstützenden Studien bestehende Phase-3-Programm, mit dem die Marktzulassung von Ceftobiprol in den USA erreicht werden soll, weiter vorangetrieben. Auf die USA entfallen wertmässig schätzungsweise 80 % des globalen Markts für patentgeschützte Spitalantibiotika. Daher spielt dieser Markt eine entscheidende Rolle bei Basileas Kommerzialisierungsstrategie für Ceftobiprol.

Die erste Studie, in akuten bakteriellen Haut- und Weichteilinfektionen (engl. ABSSSI), wurde im Februar gestartet. Vor kurzem wurde auch die zweite Studie, in *Staphylococcus-aureus*-Bakteriämie (engl. SAB) initiiert.² Die Studien werden im Rahmen von *Special Protocol Assessments* (SPAs) durchgeführt, die mit der US-Zulassungsbehörde FDA vereinbart wurden.

Das Phase-3-Programm wird mit Bundesmitteln des US-Gesundheitsministeriums, *Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response, Biomedical Advanced Research and Development Authority* (BARDA) unter der Vertragsnummer HHSO100201600002C anteilig (in Höhe von bis zu USD 118 Mio., d.h. rund 70 % der angenommenen Gesamtkosten für das Entwicklungsprogramm) finanziell unterstützt. Für das erste Halbjahr 2018 verbuchte Basilea CHF 13.2 Mio. Rückerstattungen von F&E-Aufwendungen für das Phase-3-Programm.

Phase-3-Studie mit Isavuconazol in Japan gestartet

Asahi Kasei Pharma, Basileas Partner für Isavuconazol in Japan, hat im April 2018 eine Phase-3-Studie begonnen, mit der ein zukünftiger Antrag auf Marktzulassung in Japan unterstützt werden

soll.³ Derzeit entfallen auf Japan rund acht Prozent des weltweiten Markts für Best-in-Class-Antimykotika.¹

Entwicklung von Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553 durch Start einer Phase-2a-Erweiterungsstudie in Glioblastom und in Eierstockkrebs vorangetrieben

Basilea hat ihre Aktivitäten im Bereich Glioblastom fortgesetzt. Glioblastom ist die häufigste und aggressivste Form primärer, bösartiger Hirntumore und ein Gebiet mit hohem medizinischem Bedarf, da es derzeit nur wenige Behandlungsmöglichkeiten gibt. Aktuell führt Basilea drei klinische Studien mit BAL101553 in dieser Indikation durch.

In Grossbritannien läuft eine Phase-1-Dosiseskalationsstudie an Patienten mit wieder aufgetretenem oder fortschreitendem Glioblastom. Darin wird die einmal tägliche Gabe der oralen Darreichungsform des Wirkstoffs erprobt. Die Studie dient primär dazu, die Sicherheit des Wirkstoffs bei den verschiedenen Dosierungen zu untersuchen. Im Juni wurde in der Schweiz eine Phase-2-Erweiterungsstudie gestartet, bei der Patienten mit wieder aufgetretenem Glioblastom den Wirkstoff als wöchentliche 48-Stunden-Infusion erhalten. In einem separaten Arm dieser Studie wird der Wirkstoff an Patienten mit Platin-resistentem Eierstockkrebs erprobt. Schliesslich hat Basilea in den USA eine Phase-1-Studie begonnen, in der Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom im Rahmen der Erstbehandlung orales BAL101553 in Kombination mit Strahlentherapie erhalten. Diese Studie wird in Zusammenarbeit mit dem *Adult Brain Tumor Consortium* (ABTC) durchgeführt, welches vom US-amerikanischen *National Cancer Institute* finanziert wird.

Die Studien unterstützen die Bewertung von Wirksamkeitssignalen und Basilea erwartet, dass eine erste Bewertung der Wirksamkeit im Laufe des Jahres 2019 möglich sein wird.

Patientenrekrutierung in Phase-1-Studie mit panRAF/SRC-Inhibitor BAL3833 abgeschlossen

Basileas Partner und Lizenzgeber, das *Institute of Cancer Research* (ICR), hat die Rekrutierung von Patienten in die Phase-1-Dosiseskalationsstudie abgeschlossen, in der der Wirkstoff erstmals am Menschen erprobt wurde. Die Studie wurde mit Patienten durchgeführt, die an soliden Tumoren erkrankt waren, einschliesslich metastasiertem Melanom.⁴ BAL3833 blockiert BRAF und CRAF und hemmt ausserdem Kinasen der SRC-Familie. Diese spielen alle eine wichtige Rolle bei der Übertragung von Signalen für Wachstum und Proliferation von Zellen.

In der Studie wurde ein breites Dosispektrum untersucht. Eine maximal verträgliche Dosis wurde nicht definiert. Die Studie wird derzeit ausgewertet, darunter auch Biomarker-Daten. Ergebnisse werden voraussichtlich auf einer zukünftigen wissenschaftlichen Konferenz veröffentlicht.

Zulassungsrelevante Phase-2-Studie mit Derazantinib bei intrahepatischem Cholangiokarzinom (iCCA) fortgesetzt

Derazantinib zeigte positive Ergebnisse in einer Biomarker-basierten Phase-1/2-Studie mit Patienten, die an iCCA, einer Form von Gallengangskarzinom, erkrankt waren und bei denen Fusionen des FGFR2-Gens festgestellt wurden (FGFR2-Fusions-positiv). Eine zulassungsrelevante Phase-2-Studie mit FGFR2-Fusions-positiven Patienten wird derzeit in Italien, Kanada und den USA durchgeführt.⁵ In der ersten Jahreshälfte 2019 ist eine Interim-Analyse geplant. In Abhängigkeit von den Ergebnissen nach vollständigem Abschluss der Studie, wäre gegebenenfalls die Einreichung eines Antrags auf eine beschleunigte Zulassung in den USA (accelerated approval) zur Behandlung von iCCA möglich.

Mitte 2019 beabsichtigt Basilea, die klinische Phase-2-Entwicklung für Derazantinib in weiteren soliden, FGFR-gesteuerten Tumoren zu beginnen.

Basilea setzt ihre Strategie für nachhaltiges Wachstum in ihren Fokusbereichen Spitalantibiotika, Spitalantimykotika und Onkologie weiter um

CEO David Veitch sagte: „Bei der Umsetzung unserer Strategie sind wir gut vorangekommen, und zwar sowohl im Hinblick auf die Steigerung des Umsatzes als auch die Weiterentwicklung unseres F&E-Portfolios. Unsere Partner für Cresemba und Zevtera machen signifikante Fortschritte

bei der Entwicklung und Kommerzialisierung der beiden Antiinfektiva in den verschiedenen Regionen der Welt. Wir setzen weiterhin auf interne und externe Innovationen, um unser Portfolio zu optimieren und die Grundlage für nachhaltiges, langfristiges Wachstum zu schaffen.“

Wesentliche Kennzahlen

<i>(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)</i>	H1 2018	H1 2017
Produktumsatz	6.5	9.8
Umsatz aus Verträgen	40.1	31.2
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen	0.0	0.1
Sonstiger Umsatz	13.3	5.0
Umsatz gesamt	59.9	46.2
Kosten für verkaufte Produkte	(6.5)	(3.5)
Forschungs- und Entwicklungsaufwand, netto	(57.8)	(27.2)
Vertriebs, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(15.9)	(34.6)
Kosten und Betriebsaufwand gesamt	(80.3)	(65.3)
Betriebsverlust	(20.4)	(19.1)
Konzernverlust	(22.5)	(20.6)
Netto-Kapitalabfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(60.4)	(36.6)
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(2.07)	(1.90)

<i>(In Mio. CHF)</i>	30. Juni 2018	31. Dez. 2017
Liquide Mittel und Finanzanlagen	247.3	310.7

Anmerkungen: Konsolidierte Zahlen gemäss US GAAP; Rundungen wurden konsistent vorgenommen.

Der ungeprüfte verkürzte konsolidierte Zwischenabschluss der Basilea Pharmaceutica AG für das erste Halbjahr 2018 ist auf der Internetseite der Gesellschaft einsehbar unter:
<http://interimreport.basilea.com>.

Zusammenfassung der Finanzergebnisse

Im ersten Halbjahr 2018 hat Basilea ihre Umsätze substantiell gesteigert und ihre Investitionen in ihre präklinische und klinische Pipeline beschleunigt.

Die Gesamtumsätze der Periode stiegen um 30 % auf CHF 59.9 Mio. (H1 2017: CHF 46.2 Mio.). Die Änderung des Kommerzialisierungsmodells für Europa im Jahr 2017 führte zu einer veränderten Zuordnung von Umsätzen zwischen Produktumsätzen und Umsätzen aus Verträgen. Zusammengenommen stiegen Produktumsätze und Umsätze aus Verträgen auf CHF 46.6 Mio. (H1 2017: CHF 41.0 Mio.), was insbesondere auf den Anstieg der Umsatzbeiträge durch Cresemba um 30 % auf CHF 26.3 Mio. (H1 2017: CHF 20.3 Mio.) zurückzuführen ist. Der Sonstige Umsatz stieg auf CHF 13.3 Mio. (H1 2017: CHF 5.0 Mio.). Darin sind CHF 13.2 Mio. Rückerstattungen durch BARDA enthalten (H1 2017: CHF 4.9 Mio.), wodurch ein wesentlicher Teil der Aufwendungen für Basileas Phase-3-Programm für Ceftobiprol ausgeglichen wird.

Im ersten Halbjahr 2018 intensivierte Basilea die Investitionen in ihre präklinische und klinische Pipeline. Der Forschungs- und Entwicklungsaufwand belief sich auf CHF 57.8 Mio. (H1 2017: CHF 27.2 Mio) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit den Kosten für das Phase-3-Programm für Ceftobiprol, für das seit Februar Patienten rekrutiert werden sowie die Einlizenzierung des klinischen Medikamentenkandidaten Derazantinib, einschliesslich der Abschlagszahlung von USD 10 Mio., und der Einlizenzierung präklinischer Substanzen. Darüber hinaus trugen die Phase-1/2a-Entwicklung des Onkologie-Medikamentenkandidaten BAL101553 sowie Aktivitäten im Zusammenhang mit den pädiatrischen Studienprogrammen für Ceftobiprol und Isavuconazol zum F&E-Aufwand bei.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand sank signifikant auf CHF 15.9 Mio. (H1 2017: CHF 34.6 Mio.). Dieser Rückgang ist hauptsächlich auf die Übertragung der Kommerzialisierung für Cresemba und Zevtera von Basilea auf ihre Partner nach Abschluss der Lizenzvereinbarung mit Pfizer und der Vertriebsvereinbarung mit Correvio im zweiten Halbjahr 2017 zurückzuführen.

Die Kosten für verkaufte Produkte, in denen Produktionskosten, Kosten für die Reservierung von Produktionskapazitäten sowie Versand- und Bearbeitungskosten enthalten sind, beliefen sich auf CHF 6.5 Mio. (H1 2017: CHF 3.5 Mio.) und stiegen ungefähr parallel zur Zunahme der von Basilea bedienten Nachfrage an Zevtera und Cresemba an.

Im ersten Halbjahr 2018 entstand ein Betriebsverlust von CHF 20.4 Mio. im Vergleich zu CHF 19.1 Mio. im ersten Halbjahr 2017. Der Konzernverlust für das erste Halbjahr 2018 belief sich auf CHF 22.5 Mio. (H1 2017: CHF 20.6 Mio.), woraus sich ein nicht verwässerter und verwässerter Verlust je Aktie von CHF 2.07 (H1 2017: CHF 1.90) ergab.

Die operative Geschäftstätigkeit im ersten Halbjahr 2018 führte zu einem Kapitalabfluss von CHF 60.4 Mio. im Vergleich zu einem Kapitalabfluss von CHF 36.6 Mio. im ersten Halbjahr 2017. Dies ist hauptsächlich auf die Fortschritte in Basileas F&E-Pipeline sowie deren Erweiterung zurückzuführen, ausserdem auf einen Anstieg des Umlaufvermögens. Zum 30. Juni 2018 verfügte Basilea über liquide Mittel und Finanzanlagen in Höhe von CHF 247.3 Mio., verglichen mit CHF 310.7 Mio. zum 31. Dezember 2017.

Im März 2018 schloss Basilea eine Market-Making-Vereinbarung mit Kepler Cheuvreux ab. Kepler Cheuvreux stellt Liquidität im Markt zur Verfügung und unterstützt so den Handel der Aktien der Gesellschaft an der SIX Swiss Exchange.

Ausblick 2018

Für die zweite Jahreshälfte 2018 fokussiert sich Basilea weiterhin auf:

- die Steigerung der Cresemba- und Zevtera-Umsätze, einschliesslich der Vorbereitung weiterer Markteinführungen in Ländern ausserhalb Europas und den USA
- die Weiterführung der Phase-3-Studien mit Ceftobiprol in ABSSI und SAB im Rahmen des BARDA-Vertrags, mit denen die Markteinführung in den USA erreicht werden soll
- den Fortschritt in den laufenden klinischen Studien mit Derazantinib und BAL101553
- die Verfolgung von Möglichkeiten, die Pipeline aus Spitalantibiotika, Spitalantimykotika und Onkologie-Wirkstoffen durch interne und externe Innovationen zu stärken

Auf Basis dieser Kernprioritäten sowie der im ersten Halbjahr 2018 erzielten Ergebnisse aktualisiert Basilea ihren bisherigen finanziellen Ausblick für das Jahr 2018. Die Gesellschaft erhöht ihren Ausblick für den Gesamtumsatz von CHF 105-115 Mio. auf CHF 120-130 Mio. und erwartet eine Steigerung des darin enthaltenen Beitrags durch Cresemba und Zevtera von CHF 60-65 Mio. auf CHF 75-85 Mio. Unter Berücksichtigung der für Derazantinib und die präklinischen Onkologie-Substanzen geleisteten Abschlagszahlungen sowie der laufenden Kosten für die damit zusammenhängenden Programme wird für das Gesamtjahr 2018 ein Betriebsverlust von CHF 25-35 Mio. erwartet.

Portfolio

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

Basilea hat für Isavuconazol Lizenz- und Vertriebspartnerschaften für die Vereinigten Staaten, Europa, China, Japan, Lateinamerika, Kanada, Russland, die Türkei, Israel sowie den asiatisch-pazifischen Raum und die Region Naher Osten und Nordafrika abgeschlossen. In den Mitgliedsstaaten der Europäischen Union und dem Europäischen Wirtschaftsraum sowie Jordanien und Peru ist Isavuconazol für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose zugelassen und für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, für die Amphotericin B nicht angemessen ist.⁷ Das Medikament ist ausserdem in den USA und der Schweiz zugelassen.^{6, 8} In den USA und Europa hat Isavuconazol Orphan-Drug-Status für die zugelassenen Indikationen.

Zevtera/Mabelio (Ceftobiprol) – ein intravenös verabreichbares Antibiotikum aus der Wirkstoffklasse der Cephalosporine zur Behandlung schwerer bakterieller Spital-Infektionen⁹

Ceftobiprol verfügt über eine rasche bakterizide 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.¹⁰ Ceftobiprol ist zur Behandlung ambulant und im Spital erworbener Lungenentzündung (CAP, HAP) bei Erwachsenen, mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie (VAP) zugelassen.¹⁰ Das Medikament ist in wichtigen europäischen Ländern, Argentinien, Kanada und Saudi-Arabien auf dem Markt. Für Europa, Lateinamerika, China, Kanada, Israel und die Region Naher Osten und Nordafrika (MENA) hat Basilea Lizenz- und Vertriebsvereinbarungen abgeschlossen. Ceftobiprol befindet sich derzeit in einem klinischen Phase-3-Programm mit dem Ziel, eine Marktzulassung in den USA zu erhalten.

Derazantinib (BAL087) – ein in der Entwicklung befindlicher oral verabreichbarer Inhibitor der FGFR-Kinasen-Familie mit Potenzial für eine Reihe von Krebsarten und der Aussicht, der erste für die Behandlung des intrahepatischen Cholangiokarzinoms zugelassene FGFR-Kinase-Inhibitor zu werden, einer Indikation mit hohem und derzeit nicht gedecktem medizinischem Bedarf und steigender Häufigkeit

FGFR-Kinasen spielen eine wichtige Rolle bei der Proliferation, Differenzierung und Migration von Zellen. Basilea hat Derazantinib von ArQule, Inc. einlizenziert. Der Medikamentenkandidat zeigte positive klinische Daten in einer Biomarker-basierten Phase-1/2-Studie mit iCCA-Patienten.¹¹ Die Zulassungsbehörden in den USA und Europa, FDA und EMA, haben ArQule den Orphan-Drug-Status für diese Erkrankung erteilt.

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 Medikamentenkandidat BAL101553 (Prodrug von BAL27862)¹² wird für die potenzielle Behandlung unterschiedlicher Krebserkrankungen entwickelt. Das Molekül bindet an die Colchicin-Bindungsstelle von Tubulin, was spezifische Auswirkungen auf die Mikrotubuli-Anordnung hat.¹³ Dadurch kommt es zur Aktivierung des sogenannten „Spindle-Assembly-Checkpoints“, der das Absterben von Tumorzellen fördert.¹⁴ Die Substanz zeigte In-vitro- und In-vivo-Wirksamkeit in verschiedenen behandlungsresistenten Krebsmodellen, darunter solchen, die auf konventionelle Medikamente und Strahlentherapie nicht ansprechen.^{15, 16, 17} BAL101553 verteilt sich effizient im Hirngewebe und zeigte Antikrebs-Wirksamkeit in Glioblastom-Modellen.^{18, 19, 20}

BAL3833 – ein in der Phase 1 der klinischen Entwicklung befindlicher Kinase-Inhibitor mit doppeltem Target (panRAF/SRC), der derzeit bei Patienten mit unterschiedlichen soliden Tumoren untersucht wird, einschliesslich Melanom

BAL3833 (auch bekannt als CCT3833) ist ein oral verabreichbarer, niedermolekularer Medikamentenkandidat, der die durch bestimmte Kinasen vermittelte Übertragung von Wachstums- und Proliferationssignalen unterbricht. Eine unzureichende Regulierung dieser Signalkaskaden kann zu unkontrolliertem Wachstum, also Krebs, sowie zur Entwicklung von Resistenzen gegen derzeit verfügbare Therapien führen. BAL3833 wird als panRAF-Kinase-Inhibitor bezeichnet, da der Wirkstoff nicht nur die BRAF- und CRAF-Kinasen blockiert, sondern auch Kinasen der SRC-Familie hemmt. Insbesondere das Melanom, die aggressivste Form von Hautkrebs, ist häufig mit einer mutierten BRAF-Kinase verbunden. In präklinischen Studien zeigte BAL3833 Aktivität in einer Reihe von Melanom-basierten Tumormodellen mit intrinsischer oder erworbener Resistenz gegenüber spezifischen BRAF-Inhibitoren, ebenso wie in Tumormodellen für Dickdarm-, Bauchspeicheldrüsen- und Lungenkrebs, bei denen aufgrund genetischer Veränderungen der RAF-Signalweg aktiviert war.²¹ Die Substanz stammt vom *Institute of Cancer Research* (ICR) in London, wo es von Wissenschaftlern entwickelt wurde, die von *Cancer Research UK* und dem *Wellcome Trust* finanziert wurden.

Telefonkonferenz und Webcast

Basilea Pharmaceutica AG lädt am Dienstag, dem 14. August 2018, um 16:00 Uhr (MESZ) zu einer Telefonkonferenz ein, um die finanziellen und operativen Ergebnisse zu erläutern.

Via Audio-Webcast mit Präsentation:

Erstmals führt Basilea einen Live-Audio-Webcast mit Präsentation zu den Ergebnissen durch, den Sie [hier](#) verfolgen können. Bitte beachten Sie, dass es im Webcast keine Möglichkeit gibt, Fragen zu stellen. Wenn Sie Fragen stellen möchten, wählen Sie sich bitte zusätzlich per Telefon ein (siehe untenstehende Einwahlnummern).

Via Telefon:

Für eine Teilnahme via Telefon und um Fragen zu stellen, verwenden Sie bitte die folgenden Einwahlnummern. Bitte wählen Sie sich ca. fünf Minuten vor dem Beginn der Telefonkonferenz ein, um einen rechtzeitigen Zugang zur Telefonkonferenz sicherzustellen.

+41 (0) 58 310 5000 (Europa und RoW)
+1 (1) 866 291 4166 (USA)
+44 (0) 207 107 0613 (Grossbritannien)

Aufzeichnung:

Eine Aufzeichnung des Webcasts einschliesslich der Präsentation wird kurz nach der Veranstaltung [online](#) zur Verfügung gestellt und dort drei Monate lang zugänglich sein.

Über Basilea

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

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 abrufbar.

Quellenangaben

- 1 IQVIA, März 2018
- 2 Clinicaltrials.gov identifiers: NCT03137173 (ABSSSI), NCT03138733 (SAB)
- 3 Clinicaltrials.gov identifier: NCT03471988
- 4 Clinicaltrials.gov identifier: NCT02437227
- 5 Clinicaltrials.gov identifier: NCT03230318
- 6 In den USA ist Isavuconazol für die Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose bei Patienten ab 18 Jahren zugelassen (Cresemba [US prescribing information](#) [Zugriff am 13. August 2018])
- 7 In den 28 Mitgliedsstaaten der Europäischen Union sowie in Island, Liechtenstein, Norwegen, Jordanien und Peru ist Isavuconazol für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose zugelassen und für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, für die Amphotericin B nicht angemessen ist: <http://www.ema.europa.eu> [Zugriff am 13. August 2018]
- 8 In der Schweiz ist Isavuconazol zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose zugelassen und zur Behandlung von Mukormykose bei erwachsenen Patienten mit Therapieresistenz oder Unverträglichkeit gegenüber Amphotericin B sowie bei erwachsenen Patienten mit moderater bis schwerer Niereninsuffizienz (vollständige Indikation in: Swissmedic-genehmigte Fachinformation, Stand August 2017).
- 9 In Europa wird Ceftobiprol unter dem Handelsnamen Zevtera vermarktet, mit Ausnahme von Frankreich und Italien, wo der Handelsname Mabelio ist.
- 10 UK Summary of Product Characteristics (SPC) Zevtera: <http://www.mhra.gov.uk/> [Zugriff am 13. August 2018]
- 11 V. Mazzaferro et al. ARQ 087, an oral pan-fibroblast growth factor receptor (FGFR) inhibitor, in patients (pts) with advanced intrahepatic cholangiocarcinoma (iCCA) with FGFR2 genetic aberrations. Journal of Clinical Oncology 2017, 35 (supplement), abstract 4017
- 12 J. Pohlmann et al. BAL101553: An optimized prodrug of the microtubule destabilizer BAL27862 with superior antitumor activity. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2011, abstract 1347; Cancer Research 2011, 71 (8 Supplement)
- 13 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
- 14 F. Bachmann et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): the spindle assembly checkpoint is required for anticancer activity. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2015, abstract 3789

- 15 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
- 16 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. Cancer Research 2010, 70:8 (supplement 1, abstract 4412)
- 17 F. Bachmann et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): A unique microtubule destabilizer active against drug refractory breast cancers alone and in combination with trastuzumab. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2014, abstract 831
- 18 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
- 19 A. Schmitt-Hoffmann et al. BAL27862: a unique microtubule-targeted agent with a potential for the treatment of human brain tumors. AACR-NCI-EORTC conference 2009, abstract C233; Molecular Cancer Therapeutics 2009, 8 (12 Supplement)
- 20 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. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2016, abstract 4781
- 21 G. Saturno et al. Therapeutic efficacy of the paradox-breaking panRAF and SRC drug CCT3833/BAL3833 in KRAS-driven cancer models. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2016, abstract LB-212