

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea gibt Erteilung des Orphan-Drug-Status für Isavuconazol zur Behandlung von Zygomycose durch die US-Arzneimittelbehörde FDA bekannt

**Basel, 18. November 2013** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA Isavuconazol zur Behandlung der lebensbedrohlichen Pilzkrankung Zygomycose (auch bekannt als Mucormycose) den *Orphan-Drug*-Status erteilt hat. Am 28. Mai 2013 hatte Basilea die Erteilung des *Orphan-Drug*-Status für Isavuconazol zur Behandlung invasiver Aspergillose durch die FDA bekanntgegeben.

Der *Orphan-Drug*-Status der FDA bietet für den Antragsteller mehrere Vorteile, einschliesslich einer siebenjährigen Marktexklusivität in den Vereinigten Staaten ab dem Zeitpunkt der Zulassung. Zudem besitzt Isavuconazol den FDA *Fast-Track*-Status, der darauf abzielt, Patienten mit lebensbedrohlichen Erkrankungen wichtige neue Medikamente so schnell wie möglich zur Verfügung zu stellen.

„Zygomycose ist eine lebensbedrohliche Infektion, die durch Zygomyceten, eine Klasse neuerdings vermehrt auftretender pathogener Pilze, verursacht wird“, so Prof. Achim Kaufhold, Chief Medical Officer der Basilea. „Infektionen mit „neuen“ pathogenen Pilzen sind eine wachsende Gesundheitsgefahr. Sie treten in der Regel bei Patienten mit beeinträchtigtem oder geschwächtem Immunsystem auf, wie beispielsweise Krebs- oder Transplantationspatienten, sowie bei Patienten mit Diabetes und sind unbehandelt mit hohen Sterblichkeitsraten verbunden. In *In-vitro*-Studien und Tiermodellen zeigte sich die Wirksamkeit von Isavuconazol gegenüber verschiedenen Zygomyceten und weiteren „neuen“ pathogenen Pilzen. Die Erteilung des *Orphan-Drug*-Status für Isavuconazol ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein für Basilea und unseren Partner Astellas.“ Er ergänzte: „Während der Fokus auf dem Abschluss der Analyse der SECURE- und VITAL-Studien liegt, um so die potenzielle Einreichung eines Zulassungsantrags in der ersten Hälfte 2014 zu unterstützen, wird die Patientenrekrutierung für die ACTIVE-Studie fortgesetzt und kann voraussichtlich im ersten Teil des Jahres 2015 abgeschlossen werden.“

Aufgrund ihrer begrenzten Aktivität gegenüber Zygomyceten sind Voriconazol, Fluconazol und Echinocandine nicht für die Behandlung von Zygomycose zugelassen.

Isavuconazol befindet sich in Phase 3 der klinischen Entwicklung. Die Rekrutierung von Patienten für die Isavuconazol *Open-label*-Phase-3-Studie (VITAL), bei der Aspergillose-Patienten mit bestehender Nierenschädigung behandelt werden sowie Patienten mit invasiven Infektionen durch Zygomyceten und weitere, neuerdings vermehrt auftretende pathogene Pilze, ist abgeschlossen (N = 150). Gemäss der von Studienärzten erhobenen Daten wurden rund 45 Patienten mit Mucormycose (Zygomycose) in die Studie aufgenommen sowie eine vergleichbare Zahl von Patienten mit bestehender Nierenschädigung. Eine Überprüfung der Diagnosen und Behandlungsergebnisse der Studie durch ein unabhängiges *Data Review Committee* wird derzeit durchgeführt.

Vor kurzem wurden positive Topline-Ergebnisse der Phase-3-Studie mit Isavuconazol in invasiver Aspergillose (SECURE) veröffentlicht. Die Studie zeigte die Nicht-Unterlegenheit (*Non-inferiority*) von Isavuconazol gegenüber Voriconazol bei der Initialbehandlung invasiver, durch *Aspergillus*-Schimmelpilze oder weitere Fadenpilze hervorgerufener Infektionen. Die Wirksamkeit von Isavuconazol wurde anhand des primären Endpunkts der Studie, der 42-Tage-Gesamtsterblich-

keit in der *Intent-to-treat*-Population (N = 516), gezeigt. Auf Studienmedikation zurückzuführende unerwünschte Wirkungen wurden bei 42.4 % der Patienten in der Isavuconazol-Gruppe und 59.8 % der Patienten in der Voriconazol-Gruppe beobachtet. Insgesamt, d. h. mit oder ohne Bezug zu den eingesetzten Medikamenten, wurden unerwünschte Wirkungen bei 96.1 % der Patienten in der Isavuconazol-Gruppe und 98.5 % der Patienten in der Voriconazol-Gruppe beobachtet.

In der randomisierten, doppelt verblindeten Isavuconazol Phase-3-Studie ACTIVE wird intravenös (i. v.) und oral verabreichtes Isavuconazol gegenüber Caspofungin i. v. gefolgt von oralem Voriconazol zur Behandlung invasiver *Candida*-Infektionen untersucht.

## Über Isavuconazol

Isavuconazol (Inhaltsstoff: Isavuconazoniumsulfat) ist ein derzeit in der klinischen Phase 3 der Entwicklung befindliches, einmal täglich zu verabreichendes und sowohl in intravenöser, als auch oraler Darreichungsform verfügbares Breitspektrum-Antimykotikum für die potenzielle Behandlung schwerer, invasiver und lebensbedrohlicher Pilzinfektionen. Isavuconazol zeigte *in vitro* und *in vivo* eine breite Aktivität gegenüber Hefe- (z. B. *Candida*) und Schimmelpilzen (z. B. *Aspergillus*). In *In-vitro*-Studien und Tiermodellen zeigte es Aktivität gegenüber neuerdings vermehrt auftretenden und oft tödlich verlaufenden Infektionen mit pathogenen Pilzen, beispielsweise den Erregern der Zygomycose (auch bekannt als Mucormycose). Durch die US-amerikanische Zulassungsbehörde FDA erhielt Isavuconazol *Fast-Track*-Status sowie *Orphan-Drug*-Status für invasive Aspergillose und Zygomycose. Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt.

## Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Mittels der integrierten Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten ihrer schweizerischen Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG konzentriert sich die Gesellschaft auf innovative Medikamente zur Behandlung von bakteriellen Infektionen, Pilzinfektionen und Krebs. Dabei nimmt sich Basilea der medizinischen Herausforderung an, Lösungen gegen die zunehmende Ausbildung von Resistenzen und das Nicht-Ansprechen auf bisherige Therapieformen zu finden.

## 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:

Media Relations	Investor Relations
Peer Nils Schröder, PhD Head Public Relations & Corporate Communications +41 61 606 1102 media_relations@basilea.com	Barbara Zink, PhD, MBA Head Corporate Development  +41 61 606 1233 investor_relations@basilea.com

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