

PRESSEMITTEILUNG

Basilea gibt bekannt, dass Isavuconazol von der US-Arzneimittelbehörde FDA den QIDP-Status zur Behandlung invasiver Aspergillose erhalten hat

Basel, 3. Dezember 2013 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA Isavuconazol den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP) zur Behandlung invasiver Aspergillose erteilt hat.

Mit dem QIDP-Status ist eine beschleunigte Bearbeitung von Zulassungsanträgen (*Priority Review*) und eine fünfjährige Verlängerung der Marktexklusivität in den Vereinigten Staaten ab dem Zeitpunkt der Zulassung verbunden. Diese Erleichterungen wurden auf Grundlage des US-amerikanischen *Generating Antibiotic Incentives Now* (GAIN) *Act* erteilt, der 2012 als Teil des *FDA Safety and Innovation Act* in Kraft trat und Anreize für die Entwicklung neuer Anti-Infektiva bietet.

Die fünf Jahre Verlängerung gelten zusätzlich zu der siebenjährigen Marktexklusivität, die Isavuconazol aufgrund des kürzlich erteilten *Orphan-Drug*-Status der FDA zur Behandlung von invasiver Aspergillose erhalten hat. In den USA besitzt Isavuconazol auch *Orphan-Drug*-Status für die Behandlung von Zygomycose, einer lebensbedrohlichen invasiven Pilzkrankung, die durch neuerdings vermehrt auftretende pathogene Schimmelpilze verursacht wird.

„Wir freuen uns sehr, dass Isavuconazol der QIDP-Status zur Behandlung von invasiver Aspergillose zuerkannt wurde“, so Ronald Scott, Chief Executive Officer der Basilea. „Pathogene Pilze sind eine bedeutende Bedrohung der öffentlichen Gesundheit und die Tatsache, dass *Aspergillus*-Schimmelpilze auf die GAIN-Liste der Krankheitserreger gesetzt wurden, gegen die mit Priorität neue Medikamente entwickelt werden müssen, zeigt den hohen medizinischen Bedarf von Patienten, die an diesen potenziell lebensbedrohlichen Infektionen leiden. Die bisher verfügbaren präklinischen und klinischen Daten zeigen, dass Isavuconazol das Potenzial hat, eine wichtige Behandlungsoption für diese Patienten zu werden. Derzeit werden die Datenanalysen der Phase-3-Studien SECURE und VITAL für die potenzielle Einreichung eines Zulassungsantrags in der ersten Hälfte 2014 abgeschlossen.“

Invasive Pilzinfektionen sind schwere oder lebensbedrohliche Erkrankungen, die innere Gewebe und Organe angreifen und sich über die Blutbahn weiter verbreiten können. *Aspergillus* (Schimmelpilze) und *Candida* (Hefepilze) gehören zu den Pilzen, die häufig mit invasiven Pilzinfektionen verbunden sind.^{1, 2} Invasive Aspergillose trifft vor allem Patienten mit beeinträchtigtem oder geschwächtem Immunsystem. Schätzungen zufolge erkranken daran 5-13 % der Empfänger von oft in Verbindung mit Leukämie durchgeführten Knochenmarkstransplantationen, 5-25 % der Patienten, die eine Herz- oder Lungentransplantation erhalten haben, und 10-20 % der Leukämie-Patienten, die sich einer intensiven Chemotherapie unterziehen.³ Studien berichten über Sterblichkeitsraten bei Transplantationspatienten mit invasiver Aspergillose zwischen 34 % und 58 %.⁴ Zygomycose ist eine neuerdings vermehrt auftretende Pilzinfektion, die mit hoher Morbidität und Mortalität verbunden ist. Für infizierte Transplantationspatienten wurden Sterblichkeitsraten von bis zu 80 % berichtet.⁵

Über Isavuconazol

Isavuconazol (Inhaltsstoff: Isavuconazoniumsulfat) befindet sich derzeit in der klinischen Phase 3 der Entwicklung. Es ist ein 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 Schimmelpilzen, beispielsweise den Erregern der Zygomycose. Durch die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA erhielt Isavuconazol *Fast-Track*-Status sowie *Orphan-Drug*-Status für invasive Aspergillose und Zygomycose. Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt.

Über das Isavuconazol Phase-3-Programm

Das Isavuconazol Phase-3-Programm besteht aus den drei Studien SECURE, VITAL und ACTIVE. Vor kurzem wurden positive Topline-Ergebnisse der SECURE-Studie veröffentlicht, einer globalen, randomisierten, doppelt verblindeten Phase-3-Studie, bei der die Sicherheit und Wirksamkeit von einmal täglich verabreichtem Isavuconazol im Vergleich zu zweimal täglich verabreichtem Voriconazol bei der Initialbehandlung invasiver, durch *Aspergillus*-Schimmelpilze oder bestimmte andere Fadenpilze hervorgerufene Infektionen untersucht wurde. Die Studie zeigte die Nicht-Unterlegenheit (*Non-inferiority*) von Isavuconazol gegenüber Voriconazol. Die Wirksamkeit von Isavuconazol wurde anhand des primären Endpunkts der Studie, der 42-Tage-Gesamtsterblichkeit 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.

Die VITAL-Studie ist eine *Open-label*-Phase-3-Studie, bei der Aspergillose-Patienten mit bestehender Nierenschädigung behandelt werden sowie Patienten mit invasiven Infektionen durch neuerdings vermehrt auftretende pathogene Pilze, wie beispielsweise Zygomyceten. Die Rekrutierung von Patienten für die VITAL-Studie ist abgeschlossen (N = 150). Gemäss der von Studienärzten erhobenen Daten wurden rund 45 Patienten mit 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.

In der randomisierten, doppelt verblindeten Phase-3-Studie ACTIVE wird intravenös (i. v.) und oral verabreichtes Isavuconazol im Vergleich zu Caspofungin i. v. gefolgt von oralem Voriconazol zur Behandlung invasiver *Candida*-Infektionen untersucht. Die Patientenrekrutierung für die ACTIVE-Studie wird fortgesetzt und kann voraussichtlich im ersten Teil des Jahres 2015 abgeschlossen werden.

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 abrufbar.

Quellenangaben

- 1 Alangaden GJ. Nosocomial Fungal Infections: Epidemiology, Infection Control, and Prevention. Infectious Disease Clinics of North America 2011 (25), 201-225
- 2 Lass-Flörl C. The Changing Face of Epidemiology of Invasive Fungal Disease in Europe. Mycoses 2009 (52), 197-205
- 3 Harman EM. Medscape Reference, Drugs, Diseases & Procedures, Aspergillosis Clinical Presentation. <http://emedicine.medscape.com/article/296052-overview>
- 4 Baddley JW et al. Factors Associated with Mortality in Transplant Patients with Invasive Aspergillosis. Clinical Infectious Disease 2010 (50), 1559-1567
- 5 Greenberg RN et al. Zygomycosis (Mucormycosis): Emerging Clinical Importance and New Treatments. Current Opinion in Infectious Diseases 2004 (17), 517-525