

PRESSEMITTEILUNG

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

Basel, 27. Februar 2014 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA (*Food and Drug Administration*) Isavuconazol den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP) zur Behandlung invasiver Mucormykose (auch bekannt als Zygomycose) erteilt hat. Mucormykose ist eine lebensbedrohliche invasive Pilzkrankung, die durch bestimmte, neuerdings vermehrt auftretende Schimmelpilze verursacht wird.

Mit dem QIDP-Status sind eine beschleunigte Bearbeitung von Zulassungsanträgen (*Priority Review*) und eine fünfjährige Verlängerung der Marktexklusivität in den USA verbunden. 2013 erhielt Isavuconazol auch QIDP-Status für die Behandlung invasiver Aspergillose, einer schweren Pilzkrankung, die durch weit verbreitete Schimmelpilze verursacht wird. Diese Erleichterungen wurden im Rahmen des US-amerikanischen *Generating Antibiotic Incentives Now* (GAIN) Act aus dem Jahr 2012, als Teil des FDA *Safety and Innovation Act*, erteilt.

Im Falle einer Zulassung von Isavuconazol in den USA würde die Verlängerung der Marktexklusivität um fünf Jahre zusätzlich zu der siebenjährigen Exklusivität gelten, die Isavuconazol aufgrund des in 2013 erteilten *Orphan-Drug*-Status zur Behandlung von Zygomycose von der FDA erhalten hat. Zudem besitzt Isavuconazol in den USA *Fast-Track*-Status und erhielt *Orphan-Drug*-Status für die Behandlung invasiver Aspergillose.

Ronald Scott, Chief Executive Officer der Basilea, kommentierte: „Die Erteilung des zweiten QIDP-Status für Isavuconazol durch die FDA ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein. Dies unterstreicht die mögliche bedeutsame Rolle von Isavuconazol in der Behandlung von Patienten, die an schweren oder lebensbedrohlichen invasiven Pilzkrankungen leiden. Dazu zählt auch Mucormykose, eine Infektion mit verheerenden Folgen, von welcher vor allem Patienten mit stark beeinträchtigtem Immunsystem, wie Krebspatienten, betroffen sind. Es gibt nur wenige Behandlungsoptionen für Mucormykose-Infektionen, die unbehandelt eine hohe Sterblichkeit aufweisen.“

Isavuconazol befindet sich derzeit in Phase 3 der klinischen Entwicklung. Die Ergebnisse der beiden kürzlich abgeschlossenen Phase-3-Studien (SECURE und VITAL) sollen die Grundlage für den für Mitte 2014 geplanten Zulassungsantrag in den USA und Europa bilden.

Über Isavuconazol

Isavuconazol (Inhaltsstoff: Isavuconazoniumsulfat) ist ein in 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. Der Wirkstoff befindet sich derzeit in der klinischen Phase 3 der Entwicklung.

Isavuconazol zeigte *in vitro* und *in vivo* eine breite Aktivität gegenüber Hefe- (z. B. *Candida* spp.) und Schimmelpilzen (z. B. *Aspergillus* spp.). In *In-vitro*-Studien und Tiermodellen zeigte der Wirkstoff Aktivität gegenüber neuerdings vermehrt auftretenden und oft tödlich verlaufenden Infektionen mit bestimmten pathogenen Schimmelpilzen, beispielsweise den Erregern der Mucormykose. Durch die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA erhielt Isavuconazol *Fast-*

Track-Status, QIDP- und *Orphan-Drug-Status* für invasive Aspergillose und Mucormykose (Zygomycose). Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt.

Die Topline-Ergebnisse der randomisierten, doppelt verblindeten Phase-3-Studie SECURE bei invasiver Aspergillose haben gezeigt, dass Isavuconazol dem Therapiestandard Voriconazol ebenbürtig war. Die Wirksamkeit wurde anhand des primären Endpunkts der Studie, der 42-Tage-Gesamtsterblichkeit untersucht. In der mit Isavuconazol behandelten Gruppe wurden signifikant weniger unerwünschte, auf Studienmedikation zurückzuführende Wirkungen beobachtet (42.4%) als in der Voriconazol-Gruppe (59.8%).

Zusätzlich zu einem potenziell verbesserten Sicherheitsprofil hat Isavuconazol aufgrund seines Wirkspektrums gegen Mucormykose- (Zygomycose-) auslösende Schimmelpilze sowie verlässlich berechenbarer Wirkstoffspiegel das Potenzial, eine Reihe von Einschränkungen der derzeitigen Standardtherapie bei invasiven Schimmelpilzinfektionen zu überwinden.

An der *Open-label-Phase-3-Studie* VITAL nahmen insgesamt 149 Patienten teil. Sie umfasste Patienten mit invasiven Infektionen durch bestimmte, neuerdings vermehrt auftretende pathogene Pilze, wie z. B. Mucormyketen, sowie Aspergillose-Patienten mit bestehender Nierenschädigung, bei denen intravenös (i. v.) gegebenes Voriconazol nur mit Vorsicht angewendet werden darf. Nach Abschluss der Analyse zeigen die Ergebnisse der VITAL-Studie, dass bei den nierengeschädigten Aspergillose-Patienten (n = 20) die 42-Tage-Gesamtsterblichkeit 15% betrug. In der SECURE-Studie, bei der aufgrund der Vergleichssubstanz keine Patienten mit mittlerer oder schwerer Nierenschädigung eingeschlossen werden durften, lag die Sterblichkeitsrate bei den mit Isavuconazol behandelten Patienten (n = 258) bei 18.6%. Darüber hinaus ergab sich für Patienten mit bestätigter Mucormykose (n = 37) aus der VITAL-Studie, darunter auch Patienten mit Resistenzen oder Unverträglichkeit gegenüber anderen Antimykotika, eine 42-Tage-Gesamtsterblichkeit von 37.8%, ähnlich den in der Literatur erwähnten Sterblichkeitsraten bei der Behandlung von Mucormykose.¹

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

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 Lanternier F et al. A global analysis of mucormycosis in France: the RetroZygo study (2005-2007). Clinical Infectious Diseases 2012 (54), Supplement 1, S35-S43