

## PRESSEMITTEILUNG

# Basileas Partner Astellas reicht US-Zulassungsantrag für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mucormykose ein

**Basel, 9. Juli 2014** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) teilte heute mit, dass ihr Entwicklungspartner Astellas Pharma Inc. bei der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde *Food and Drug Administration* (FDA) einen Zulassungsantrag (*New Drug Application*, NDA) für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mucormykose (Zygomycose) eingereicht hat.

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 lebensbedrohlicher invasiver Pilzinfektionen, die vor allem bei immungeschwächten Patienten auftreten.

In den USA erhielt Isavuconazol den FDA *Fast-Track*-Status und im Rahmen des US-amerikanischen GAIN-Gesetzes (*Generating Antibiotic Incentives Now*) den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP). Darüber hinaus hat der Wirkstoff in den USA *Orphan-Drug*-Status für die Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose.

Prof. Achim Kaufhold, Chief Medical Officer der Basilea, kommentierte: „Bei der wachsenden Zahl von Patienten mit geschwächtem Immunsystem, wie beispielsweise Krebspatienten, können *Aspergillus*- und *Mucorales*-Schimmelpilze zu schweren invasiven Infektionen führen, die mit hohen Sterblichkeitsraten verbunden sind. Die Einreichung des ersten Zulassungsantrags für Isavuconazol ist ein wichtiger Meilenstein auf dem Weg zu einer potenziellen neuen Therapieoption für die Behandlung dieser lebensbedrohlichen Pilzinfektionen.“

Ronald Scott, Chief Executive Officer der Basilea, ergänzte: „Wir sind erfreut über die Einreichung des US-Zulassungsantrags durch unseren Partner Astellas. Dies bringt uns einen Schritt näher zu unserem Ziel, den Patienten Isavuconazol zur Verfügung stellen zu können. Parallel zur US-Einreichung bereitet Basilea darauf aufbauend derzeit den Zulassungsantrag für Europa vor. Dieser soll wie geplant Mitte 2014 eingereicht werden und ist Ausdruck unseres unveränderten Engagements, neue Medikamente für den Kampf gegen lebensbedrohliche Infektionen zu entwickeln.“

Basilea hält die vollständigen Rechte an Isavuconazol in Märkten ausserhalb der USA und Kanada; in diesen beiden Ländern liegen die Rechte bei Astellas. Nach erfolgreicher Einreichung des Zulassungsantrags bei der FDA hat Basilea Anspruch auf eine Meilensteinzahlung.

Die Grundlage für den US-Zulassungsantrag sind die Ergebnisse der beiden Phase-3-Studien SECURE und VITAL. SECURE war eine globale, doppelt verblindete, randomisierte Studie, bei der 516 Patienten (*Intent-to-treat*-Population) beteiligt waren und in 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 andere Fadenpilze hervorgerufener Infektionen untersucht wurde.

Die VITAL-Studie war eine *Open-label*-Studie (N=149 Patienten), bei der der Einsatz von Isavuconazol bei Aspergillose-Patienten mit bestehender Nierenschädigung sowie bei Patienten

mit invasiven Infektionen durch neuerdings vermehrt auftretende und oft tödliche Schimmelpilze, wie z. B. *Mucorales*, Hefen oder dimorphe Pilze untersucht wurde.

In der SECURE Phase-3-Studie zeigte Isavuconazol bei der Behandlung invasiver *Aspergillus*-Infektionen Nichtunterlegenheit (*Non-Inferiority*) gegenüber Voriconazol hinsichtlich der 42-Tage-Gesamtsterblichkeit, dem primären Endpunkt der Studie. Für die Organklassen (*System Organ Classes*) Leber-Galle-, Haut- und Augenerkrankungen wurden bei Isavuconazol statistisch signifikant weniger unter Behandlung auftretende unerwünschte Wirkungen beobachtet als bei Voriconazol. Zudem traten bei Isavuconazol mit statistischer Signifikanz weniger auf Studienmedikation zurückzuführende unerwünschte Wirkungen auf als bei Voriconazol. Die in beiden Behandlungsgruppen am häufigsten aufgetretenen unerwünschten Wirkungen waren Übelkeit, Erbrechen, Fieber und Durchfall.

Darüber hinaus umfasst das Phase-3-Programm eine dritte Studie, ACTIVE. Die Studie rekrutiert derzeit Patienten. In ihr wird die Sicherheit und Wirksamkeit von intravenös (i. v.) und oral verabreichtem Isavuconazol gegenüber Caspofungin i. v. gefolgt von oralem Voriconazol zur Behandlung invasiver Infektionen mit *Candida*-Hefepilzen untersucht.

## Über invasive Aspergillose und Mucormykose

An invasiver Aspergillose erkranken Schätzungen zufolge 5-13 % der Knochenmarkempfänger, 5-25 % der Patienten, die eine Herz- oder Lungentransplantation erhalten haben und 10-20 % der Leukämie-Patienten, die sich einer intensiven Chemotherapie unterziehen.<sup>1</sup> Studien berichten über Sterblichkeitsraten bei Transplantationspatienten mit invasiver Aspergillose zwischen 34 % und 58 %.<sup>2</sup> Bei Patienten, die nach Organtransplantationen an invasiver Aspergillose erkrankten, hatten rund 47 % eine eingeschränkte Nierenfunktion. Akutes Nierenversagen trat bei 43 % der auf Intensivstationen behandelten Patienten mit invasiver Aspergillose auf, im Vergleich zu 20 % aller Intensivstationpatienten.<sup>2, 3</sup>

Mucormykose (auch bekannt als Zygomycose) ist eine schwere und häufig tödlich verlaufende Pilzerkrankung, die durch bestimmte, neuerdings vermehrt auftretende Schimmelpilze verursacht wird. Bei immungeschwächten Patienten, beispielsweise solchen, die sich einer Chemotherapie oder Knochenmarktransplantation unterziehen, ist invasive Mucormykose mit einer hohen Morbidität und Sterblichkeit verbunden.<sup>4, 5</sup> Unbehandelt führt Mucormykose fast immer zum Tod und ist auch bei entsprechender Behandlung mit hohen Sterblichkeitsraten verbunden.<sup>6</sup>

## 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.

## Quellenangaben

- 1 E. M. Harman. Medscape Reference, Drugs, Diseases & Procedures, Aspergillosis Clinical Presentation, <http://emedicine.medscape.com/article/296052-overview>
- 2 J. W. Baddley et al. Factors associated with mortality in transplant patients with invasive aspergillosis. *Clinical Infectious Disease* 2010 (50), 1559-1567
- 3 K. H. Vandewoude et al. Invasive aspergillosis in critically ill patients: attributable mortality and excesses in length of ICU stay and ventilator dependence. *Journal of Hospital Infection* 2004 (56), 269-276
- 4 F. Lanternier et al. A global analysis of mucormycosis in France: the RetroZygo study (2005-2007). *Clinical Infectious Diseases* 2012 (54), S35-S43
- 5 J. Ambrosioni et al. Emerging invasive zygomycosis in a tertiary care center: epidemiology and associated risk factors. *International Journal of Infectious Diseases* 2010 (14S), e100-e103
- 6 J. Wingard. Zygomycosis: Epidemiology and treatment options. *Proceedings* 2006 (6), S526-S530