

## PRESSEMITTEILUNG

# Basileas Isavuconazol erhält in Europa *Orphan-Drug*-Status zur Behandlung invasiver Schimmelpilzinfektionen

**Basel, 14. Juli 2014** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) teilte heute mit, dass die Europäische Kommission Isavuconazol den *Orphan-Drug*-Status zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose (Zygomycose) erteilt hat. Isavuconazol ist ein in der Entwicklung befindliches intravenös und oral verabreichbares Breitspektrum-Antimykotikum.

Der *Orphan-Drug*-Status ist für den Antragsteller mit einer Reihe von Vorteilen verbunden, wie beispielsweise einer zehnjährigen Marktexklusivität unabhängig vom bestehenden Patentschutz, vorausgesetzt, das Medikament erhält eine Zulassung in der Europäischen Union (EU) und der *Orphan-Drug*-Status wird während der Begutachtung des zukünftigen Zulassungsantrags bestätigt.

Ronald Scott, Chief Executive Officer der Basilea, kommentierte: „Invasive Aspergillose und Mucormykose sind lebensbedrohliche Schimmelpilzinfektionen, an denen vor allem Patienten mit einem beeinträchtigten oder geschwächten Immunsystem erkranken. Isavuconazol ist das erste Antimykotikum, dem der EU-*Orphan-Drug*-Status sowohl zur Behandlung von invasiver Aspergillose als auch von Mucormykose erteilt wurde. Die Erteilung des *Orphan-Drug*-Status ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein in Basileas Entwicklungsstrategie für Isavuconazol in Europa.“

Auf Basis der soeben erfolgten Einreichung des U.S. Zulassungsantrags für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mucormykose durch Basileas Entwicklungspartner Astellas, bereitet Basilea derzeit einen Zulassungsantrag für Europa vor. Dieser soll wie geplant Mitte 2014 eingereicht werden.

### Über das Isavuconazol-Phase-3-Programm

Das Isavuconazol-Phase-3-Programm besteht aus den drei Studien SECURE, VITAL und ACTIVE. Die SECURE-Studie war eine globale, doppelt verblindete, randomisierte 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 andere Fadenpilze hervorgerufener Infektionen untersucht wurde. Die VITAL-Studie war eine *Open-label*-Studie, 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, Hefen oder dimorphe Pilze untersucht wurde. Die ACTIVE-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. Die SECURE- und VITAL-Studien bilden die Grundlage für die Zulassungsanträge in Europa und in den USA.

### Über invasive Aspergillose und Mucormykose

An invasiver Aspergillose erkranken Schätzungen zufolge 5-13 % der Knochenmarkempfänger, 5-25 % der Patienten, die eine Herz- oder eine 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 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 häufig tödlich verlaufende Pilzkrankung, die durch 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 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 zur potenziellen Behandlung schwerer, invasiver und lebensbedrohlicher Pilzinfektionen. Isavuconazol zeigte *in vitro* und *in vivo* eine breite Wirksamkeit gegenüber Hefe- (z. B. *Candida* spp.) und Schimmelpilzen (z. B. *Aspergillus* spp.), sowie neuerdings vermehrt auftretenden und oft tödlichen pathogenen Schimmelpilzen, wie beispielsweise den Erregern der Mucormykose. In den USA erhielt Isavuconazol von der Arzneimittelbehörde FDA *Fast-Track*-, QIDP- und *Orphan-Drug*-Status für invasive Aspergillose und Mucormykose (Zygomycose). In der Europäischen Union wurde dem Wirkstoff der *Orphan-Drug*-Status zur Behandlung von invasiver Aspergillose und zur Behandlung von Mucormykose erteilt.

Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt. Basilea hält die vollständigen Rechte an Isavuconazol in Märkten ausserhalb der USA und Kanada; in diesen beiden Ländern liegen die Rechte bei Astellas.

Astellas hat bei der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde *Food and Drug Administration* (FDA) einen Zulassungsantrag für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mucormykose eingereicht.

## 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 Risken 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