

PRESSEMITTEILUNG

Basilea berichtet über Studienprotokoll-Änderung für früheren Abschluss der Isavuconazol Phase-3-Studie zur Behandlung von invasiver Candidiasis

Basel, 16. Oktober 2014 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass ihr Partner Astellas Pharma Inc. bei den entsprechenden Zulassungsbehörden und Ethikkommissionen eine Änderung des Protokolls der Phase-3-Studie ACTIVE eingereicht hat. Die Studie untersucht den Einsatz des in der Entwicklung befindlichen Antimykotikums Isavuconazol zur Behandlung von Candidämie und anderen invasiven *Candida*-Infektionen.

Im Rahmen der Protokoll-Änderung wird die angestrebte Gesamtzahl der Patienten von 526 auf 438 verringert, wodurch ein früherer Abschluss der Studie ermöglicht wird. Auf Basis einer verblindeten Beurteilung der Gesamt-Auswertbarkeitsrate anhand der verfügbaren Daten wird angenommen, dass die Anzahl der auswertbaren Patienten höher ist als ursprünglich erwartet. Dies erlaubt eine Verringerung der Patientenzahl in der Studie unter Erhalt einer ausreichenden statistischen Aussagekraft hinsichtlich des primären Endpunkts der Studie, dem Nachweis der Nichtunterlegenheit von Isavuconazol gegenüber Caspofungin bezüglich der Gesamtansprechrate am Ende der intravenösen Behandlung.

Die Protokoll-Änderung bedarf der Zustimmung durch Zulassungsbehörden und Ethikkommissionen.

Prof. Achim Kaufhold, Chief Medical Officer bei Basilea, sagte: „Wir freuen uns, dass die Rekrutierung von Patienten für die Isavuconazol-Studie ACTIVE nun bereits Anfang 2015, und somit früher als erwartet, abgeschlossen werden könnte. Mit *Topline*-Daten wird nach Abschluss von Behandlung und *Follow-up* im zweiten Halbjahr 2015 gerechnet.“

In der Phase-3-Studie ACTIVE wird die Sicherheit und Wirksamkeit von intravenös (i. v.) und oral verabreichtem Isavuconazol gegenüber i. v. verabreichtem Caspofungin gefolgt von oralem Voriconazol zur Behandlung von Candidämie und anderen invasiven Infektionen mit *Candida*-Hefepilzen untersucht.¹

Zulassungsanträge für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose bei Erwachsenen werden derzeit von der US-amerikanischen Zulassungsbehörde FDA (*Food and Drug Administration*) sowie der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) geprüft. Der Abschluss der Begutachtung des US-Zulassungsantrags wurde von der FDA auf den 8. März 2015 festgesetzt (*PDUFA Date*). Die Prüfung von Basileas europäischem Zulassungsantrag könnte bis zum vierten Quartal 2015 abgeschlossen werden.

Über invasive *Candida*-Infektionen

Infektionen mit *Candida*-Hefepilzen sind schwere invasive Pilzinfektionen, die mit einer hohen Morbidität und Sterblichkeit verbunden sind. Schätzungen zufolge beträgt die auf *Candida* zurückzuführende Sterblichkeit bei Blutbahninfektionen (Candidämien) zwischen 15 % und 49 %.^{2, 3, 4}

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 invasiver,

lebensbedrohlicher Pilzinfektionen, die vor allem bei immungeschwächten Patienten auftreten, beispielsweise bei Krebspatienten, die sich einer Chemotherapie unterziehen.

Zulassungsanträge für Isavuconazol zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose bei Erwachsenen werden derzeit von der FDA sowie der EMA geprüft. Der Wirkstoff hat in der Europäischen Union und den USA *Orphan-Drug*-Status zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose. Ausserdem erhielt Isavuconazol von der FDA *Fast-Track*-Status sowie im Rahmen des US-amerikanischen GAIN-Gesetzes (*Generating Antibiotic Incentives Now*) den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP) zur Behandlung von invasiver Aspergillose, Mucormykose und Candidiasis.

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 exklusiven Rechte bei Astellas.

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-, Entwicklungs- und Vermarktungsaktivitäten ihrer schweizerischen Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG entwickelt und vermarktet das Unternehmen 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 Therapien 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 Clinicaltrials.gov identifier: NCT00413218
- 2 J. Morgan et al. Excess mortality, hospital stay, and cost due to candidemia: a case-control study using data from population-based candidemia surveillance. *Infection Control and Hospital Epidemiology* 2005 (26), 540-547
- 3 T. E. Zaoutis et al. The epidemiology and attributable outcomes of candidemia in adults and children hospitalized in the United States: a propensity analysis. *Clinical Infectious Diseases* 2005 (41), 1232-1239
- 4 O. Gudlaugsson et al. Attributable mortality of nosocomial candidemia, revisited. *Clinical Infectious Diseases* 2003 (37), 1172-1177