

PRESSEMITTEILUNG

Basilea startet klinische Phase-1/2a-Onkologie-Studie mit oral verabreichtem Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553

Basel, 25. Juni 2015 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute den Beginn einer klinischen Phase-1/2a-Studie mit einer oralen Darreichungsform ihres Krebsmedikamentenkandidaten BAL101553 bekannt. BAL101553 ist ein niedermolekularer, Mikrotubuli-destabilisierender Wirkstoff, der als sogenannter *Tumor-Checkpoint-Controller* (TCC) durch Aktivierung eines wichtigen Kontrollpunkts in der Zellproliferation Tumorzellen zum Absterben bringt.

Primäres Ziel des Phase-1-Teils der Studie ist die Bestimmung der maximal verträglichen Dosis von BAL101553 bei einmal täglicher Gabe als Kapsel bei erwachsenen Krebspatienten, die auf eine Standard-Therapie nicht ansprechen oder für die keine wirksame Standardtherapie zur Verfügung steht. Anschliessend sollen im Rahmen einer Phase-2a-Erweiterung die Sicherheit, Verträglichkeit und das pharmakokinetische Profil der ermittelten maximal verträglichen Dosis für die einmal tägliche orale Gabe weiter untersucht sowie die Antitumoraktivität von BAL101553 bewertet werden. Zudem werden im Phase-1- und Phase-2a-Teil der Studie bestimmte *Biomarker* daraufhin untersucht, ob sich mit ihnen Patienten bestimmen lassen, die am ehesten auf eine Behandlung ansprechen könnten.

Eine intravenöse Darreichungsform von BAL101553 wird derzeit in einer klinischen Phase-2a-Studie bei Krebspatienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren untersucht.

„Die orale Bioverfügbarkeit unseres Onkologie-Wirkstoffs BAL101553 könnte sich als vorteilhafte Ergänzung zur intravenösen Darreichungsform erweisen“, sagte Prof. Achim Kaufhold, Basileas Chief Medical Officer. „Eine orale Darreichungsform eröffnet zusätzliche Flexibilität im Hinblick auf die mögliche Behandlung verschiedener Tumorarten mit BAL101553 als Einzelwirkstoff oder in Kombination und könnte so die Optionen für die klinische Entwicklung dieses Krebsmedikamentenkandidaten erweitern.“

Über den Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553

BAL101553 ist ein wasserlösliches *Prodrug* von Basileas BAL27862, einem Mikrotubuli-destabilisierenden Antikrebs-Wirkstoff. Das *Prodrug* steht sowohl als intravenöse als auch orale Darreichungsform zur Verfügung. Der Medikamentenkandidat wird zur Behandlung verschiedener Krebsarten entwickelt, einschliesslich solcher, die auf Standardtherapien nicht ansprechen oder dagegen resistent sind. Erste Hinweise auf eine klinische Antitumoraktivität zeigte BAL101553 im Phase-1-Teil einer derzeit laufenden Phase-1/2a-Studie, bei der die intravenöse (i. v.) Darreichungsform an Krebspatienten mit soliden Tumoren untersucht wird.¹

BAL101553 destabilisiert das für die Zellteilung essenzielle Mikrotubuli-Netzwerk und ist in der Lage, das Tumorstadium einerseits durch Hemmung der Zellvermehrung und andererseits durch eine Beeinträchtigung der Blutversorgung des Tumors zu stoppen. Dabei unterscheidet sich sein Wirkmechanismus von dem konventioneller Mikrotubuli-angreifender Wirkstoffe, wie z. B. der Taxane.

Auf der Jahrestagung 2015 der *American Association of Cancer Research* (AACR) in Philadelphia, USA, wurden Daten präsentiert, die zeigen, dass BAL101553 die Bildung des sogenannten *Spindle Assembly Checkpoint* (SAC) induziert.² Dieser Kontrollpunkt überwacht die

Zellteilung und leitet im Fall einer fehlerhaften Ausbildung der Mikrotubuli-Spindel das Absterben der Tumorzelle ein. In einer Reihe von Tumormodellen konnte ein Zusammenhang zwischen dem Vorhandensein bestimmter SAC-Komponenten, wie beispielsweise BubR1, und dem Ansprechen auf BAL101553 gezeigt werden. Die auf der AACR-Tagung gezeigten Daten bestätigen, dass die Empfindlichkeit humaner Tumorzelllinien gegenüber BAL101553 mit einem intakten SAC korreliert und stützen so die Hypothese, dass über die Funktion von BAL101553 als *Tumor-Checkpoint-Controller* eine Prognose über das Ansprechen von Tumoren auf den Wirkstoff möglich sein könnte. Die Eignung von SAC-Komponenten als potenzielle *Biomarker* zur Identifizierung von Patienten, die auf BAL101553 ansprechen könnten, wird in den klinischen Studien untersucht.

Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung von Antibiotika, Antimykotika und Medikamenten zur Krebstherapie spezialisiert hat. Basileas Therapeutika zielen dabei auf das Problem der zunehmenden Resistenzen gegen bzw. das Nicht-Ansprechen auf derzeitige Behandlungsmöglichkeiten ab. Mittels der integrierten Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten der Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG entwickelt und vermarktet das Unternehmen innovative Medikamente, um den medizinischen Bedarf von Patienten zu adressieren, die an schweren und potenziell lebensbedrohlichen Krankheiten leiden. Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Für weitere Informationen besuchen Sie bitte die Unternehmens-Website www.basilea.com

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 L. R. Molife et al. Phase 1/2a trial of the novel microtubule inhibitor BAL101553 in advanced solid tumors: Phase 1 completed. American Society of Clinical Oncology (ASCO) annual meeting 2014, abstract 2562
- 2 F. Bachmann, K. Burger, H. Lane. BAL101553 (prodrug of BAL27862): the spindle assembly checkpoint is required for anticancer activity. American Association for Cancer Research (AACR) annual meeting 2015, abstract 3789