

MEDIENMITTEILUNG

Tadakinig-alfa-Therapie von AB2 Bio erhält von der US-Gesundheitsbehörde (FDA) den Status einer Breakthrough Therapy für die Behandlung von monogenen, Interleukin-18 (IL-18) assoziierten Autoinflammationserkrankungen mit andauernder systemischer Entzündung.

Zudem erteilt die FDA Tadakinig alfa den Orphan-Drug-Status (ODD) für die Behandlung von hämophagozytischer Lymphohistiozytose (HLH).

- **Mit dem Breakthrough-Therapy-Status (BTD) werden die wichtigsten potenziellen Therapievorteile von Tadakinig alfa (IL-18BP) bei der Behandlung von schweren und potenziell tödlichen Autoinflammationserkrankungen anerkannt.**
- **Sowohl der BTD- als auch der ODD-Status der FDA beschleunigen die Entwicklung von Tadakinig alfa**

Lausanne (Schweiz), 3. April 2017. AB2 Bio AG, ein Schweizer Biotech-Unternehmen, das sich auf die klinische Entwicklung innovativer Therapien zur Behandlung schwerer systemischer entzündlicher Autoimmunerkrankungen spezialisiert hat, gab heute bekannt, dass die US-Gesundheitsbehörde (FDA) Tadakinig alfa (IL-18BP) den Breakthrough-Therapy-Status für die Behandlung von monogenen, Interleukin-18 (IL-18) assoziierten Autoinflammationserkrankungen mit andauernder systemischer Entzündung zugesprochen hat.

Darüber hinaus hat die FDA Tadakinig alfa den Orphan-Drug-Status zur Behandlung der hämophagozytischen Lymphohistiozytose (HLH) zuerkannt.

Dr. Andrew Sleight, CEO von AB2 Bio AG, kommentierte: «Der Breakthrough-Therapy-Status unterstreicht das Potenzial von Tadakinig alfa, Patienten mit diesen lebensbedrohlichen Krankheiten dringend benötigte Behandlungsoptionen zu bieten. Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit der FDA, um dieses potenziell lebensrettende Medikament schwer erkrankten Patienten zugänglich zu machen.»

Dr. Andrew Sleight, CEO von AB2 Bio AG, ergänzte: «Wir freuen uns ausserdem sehr darüber, dass nun auch die FDA den ODD-Status für die Behandlung der der Hämophagozytischen Lymphohistiozytose (HLH) zuerkannt hat nach der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) im November 2016.»

Breakthrough-Therapy- und Orphan-Drug-Status für Tadakinig alfa

Im November 2015 wurde auf dem Jahreskongress des American College of Rheumatology ein ausserordentlicher Fallbericht vorgestellt. Danach behandelte AB2 Bio ein schwer krankes kleines Mädchen, das an einer NLRC4-Genmutation litt, auf Compassionate-Use-Basis erfolgreich mit IL-18BP. Nun initiiert AB2 Bio eine zulassungsrelevante klinische Phase-III-Studie bei Patienten mit der gleichen Erkrankung.

NLRC4-Mutationen sind monogene, IL-18 assoziierte Autoinflammationserkrankungen, die als Untergruppe von HLH-Erkrankungen klassifiziert sind. Der BTD-Status deckt neben dieser Erkrankung auch weitere Erkrankungen ab, z. B. XIAP-Defizienzen. Es ist beabsichtigt, die Entwicklung sowie die Überprüfungsfristen für potenziell neue Medikamente zur Behandlung von schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankungen zu beschleunigen, wenn vorläufige klinische Beweise vorliegen,



dass das betreffende Medikament eine erhebliche Verbesserung gegenüber bestehenden Behandlungen erzielen kann.

Über den Breakthrough-Therapy-Status

Der Breakthrough-Therapy-Status der FDA dient dazu, die Entwicklung und Überprüfung eines Arzneimittelkandidaten zu beschleunigen, dessen Verwendung bei der Behandlung einer schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankung oder eines Krankheitsbilds geplant ist, wenn vorläufige klinische Nachweise darauf hindeuten, dass das Arzneimittel im Vergleich zu den vorhandenen Therapien bei einem oder mehreren klinisch signifikanten Endpunkten eine wesentliche Verbesserung darstellt. Die Vorteile des BTD-Status sind u. a. die Eignung für die turnusmässige (Rolling Review) und vorrangige Überprüfung (Priority Review) sowie ein intensiverer und interaktiverer Dialog mit den Führungskräften der FDA, um das Arzneimittelentwicklungsprogramm zu beschleunigen.

Über den ODD-Status

Um von der FDA den Orphan-Drug-Status (ODD) zu erhalten, muss ein Arzneimittel zur Behandlung einer Erkrankung bestimmt sein, die in den USA weniger als 200 000 Personen betrifft. Der ODD-Status bietet Anreize, die die Entwicklung erleichtern sollen, darunter Protokollunterstützung und bis zu zehn Jahre Marktexklusivität in den USA nach der Marktzulassung für die vorgesehene Indikation.

Über hämophagozytische Lymphohistiozytose (HLH)

HLH und damit zusammenhängende Erkrankungen sind potenziell lebensbedrohliche Krankheiten, die mit einer schweren systemischen Entzündung einhergehen. Menschen mit HLH entwickeln in der Regel in den ersten Lebensmonaten oder -jahren Symptome wie Fieber, Panzytopenie, Koagulopathie, und Hämophagozytose. Diese Erkrankungen können vererbt werden (genetisch bedingt) oder infolge anderer Krankheiten wie Krebs auftreten. HLH wird durch eine Überaktivierung der Makrophagen verursacht. Ein wichtiger Aspekt des therapeutischen Profils von Tadekinig alfa besteht darin, dass es spezifisch auf den Kern von HLH abzielt, indem es die Makrophagen kontrolliert und ihre Überaktivierung verhindert.

Über Interleukin-18 Binding Protein (IL-18BP), eine sichere und möglicherweise wegweisende Therapie bei schweren entzündlichen Autoimmunerkrankungen

Während zeitlich begrenzte Entzündungsreaktionen ein natürlicher Mechanismus sind, der dazu gedacht ist, Schäden am Körper zu begrenzen, sind fehlgesteuerte, anhaltende entzündliche Prozesse die Basis für verschiedene chronisch entzündliche Erkrankungen und Autoimmunerkrankungen. IL-18BP ist ein Humanprotein mit einer hohen Affinität für IL-18, einem der bedeutendsten inflammatorischen Zytokine. Bei gesunden Menschen ist natürlich vorkommendes IL-18BP reichlich vorhanden, so dass freies IL-18 nur in geringem Masse im Körper vorkommt. Bei Patienten mit bestimmten entzündlichen Erkrankungen ist das Gleichgewicht von IL-18/IL-18BP dagegen gestört, was zu grossen Mengen von freiem, aktivem IL-18 führt, was wiederum pathologische Entzündungen hervorruft. Die Gabe des exogenen rekombinanten humanen IL-18BP von AB2 Bio stellt das Gleichgewicht von IL-18/IL-18BP wieder her, beseitigt freies IL-18 und verringert damit die Entzündung. AB2 Bio hat den ersten gesetzlich geschützten Assay entwickelt, der freies IL-18 detektiert und so den Nachweis von klinischen Entitäten ermöglicht, die von freiem IL-18 gesteuert werden. Umfassende Ergebnisse aus klinischen Phase-I-, Phase-Ib- und Phase-II-Studien zeigten, dass IL-18BP sehr gut vertragen wird und ein ausgezeichnetes Sicherheitsprofil hat.



Über AB2 Bio AG

AB2 Bio AG, das sich im Innovationspark der École polytechnique fédérale de Lausanne (EPFL) befindet, ist auf die Entwicklung von Therapien gegen entzündliche Autoimmunerkrankungen spezialisiert. Das Schweizer Biotech-Unternehmen entwickelt in klinischen Studien Arzneimittel, die nicht nur Symptome behandeln, sondern sich vor allem gegen die Ursachen entzündlicher Erkrankungen richten.

AB2 Bio initiiert derzeit eine zulassungsrelevante klinische Phase-III-Studie bei Patienten mit NLRC4- oder XIAP-Genmutationen. Zudem hat AB2 Bio kürzlich eine klinische Phase-II- Studie bei im Erwachsenenalter auftretender Stillscher Krankheit abgeschlossen. Die Analyse der Daten läuft noch. Weitere Informationen finden Sie unter www.ab2bio.com.

Ansprechpartner für die Medien

Stefan Mathys, Partner IRF Communications AG, Telefon +41 43 244 81 49, stefan.mathys@irfcom.ch