

Medienmitteilung

3. November 2016

Actelion erwirbt Lizenzoption für Vamorolone von ReveraGen

Vamorolone, ein neuer Wirkstoff zur Behandlung von Muskeldystrophie Duchenne, hat das Potential, Muskelfunktion und Mobilität der Patienten länger aufrechtzuerhalten, ohne dabei einige der mit Glukokortikoid-Therapien assoziierten Nebenwirkungen zu zeigen.

ALLSCHWIL, SCHWEIZ und ROCKVILLE (MD), USA – 3. November 2016 – Actelion Ltd (SIX: ATLN) und ReveraGen BioPharma, Inc., ein privates Unternehmen, das proprietäre therapeutische Produkte im Bereich der neuromuskulären und entzündlichen Krankheiten erforscht und entwickelt, gaben heute den Abschluss einer Vereinbarung bekannt. Im Rahmen dieser Vereinbarung erhält Actelion eine Exklusivoption zur Einlizensierung des Leitkandidaten von ReveraGen, Vamorolone, zur Behandlung von Muskeldystrophie Duchenne. Die Option kann in zwei verschiedenen Entwicklungsphasen des Wirkstoffs ausgeübt werden.

Vamorolone ist ein neuartiger Wirkstoff mit dem Potential einer besseren Erhaltung der Muskelfunktion und längeren Aufrechterhaltung der Mobilität, ohne einige der mit den derzeit gebräuchlichen Kortikosteroiden assoziierten Nebenwirkungen. Dies ist vor allem für sehr junge Patienten mit Muskeldystrophie Duchenne bedeutsam, für die eine Kortikosteroid-Therapie aufgrund dieser Nebenwirkungen – die Wachstumsstörungen und Immunsuppression einschliessen – nicht angezeigt ist.

Dr. Jean-Paul Clozel, Chief Executive Officer von Actelion, kommentierte: „Wir sind ausserordentlich beeindruckt von der Pionierarbeit, die Dr. Hoffman und sein Team bei ReveraGen leisten, sowie von dem Engagement, mit dem Patientenorganisationen die Entwicklung von Vamorolone unterstützen. Aufbauend auf unserer wissenschaftlichen, regulatorischen und kommerziellen Expertise bei der Entwicklung von Medikamenten für seltene Krankheiten verfügt Actelion über ideale Voraussetzungen, um die Entwicklung dieses neuen therapeutischen Ansatzes zu unterstützen, zum Nutzen der von Muskeldystrophie Duchenne betroffenen Jungen und der Menschen, die sie betreuen.“

Eric Hoffman, Chief Executive Officer von ReveraGen, sagte: „Duchenne steht seit vielen Jahren im Mittelpunkt unserer Arbeit, und wir haben jetzt die Chance, das Fortschreiten dieser schrecklichen Krankheit zu verlangsamen. Das Projekt hat bereits ungemein von breiter philanthropischer Unterstützung profitiert, und wir sind über die Optionsvereinbarung sehr erfreut, welche die wissenschaftliche und kommerzielle Kompetenz von Actelion an den Tisch bringt, durch die Vamorolone Patienten mit Duchenne und ihre Familien rasch erreichen kann.“

ReveraGen entwickelt Vamorolone in klinischen Studienprogrammen parallel in den USA und in Europa. Die klinischen Studien der Phase I wurden Ende 2015 abgeschlossen – sie wurden im Rahmen von Venture-Philanthropy-Verträgen von Organisationen wie der Muscular Dystrophy Association (USA), Joining Jack (UK), Duchenne Research Fund (UK) und Duchenne Children's Trust (UK) finanziert.

Gegenwärtig läuft ein Programm der Phase IIa, das die Sicherheit und Wirksamkeit von Vamorolone bei vier- bis siebenjährigen steroidnaiven Jungen mit Duchenne untersucht, d.h. von Patienten, die noch nicht mit Prednison oder Deflazacort behandelt wurden. Das klinische DMD-Programm wird in Zusammenarbeit zwischen CINRG Group und Newcastle University (Kate Bushby und Michela Guglieri) entwickelt und durchgeführt. Ein Programm der Phase IIb ist in Planung.

###

ANMERKUNGEN FÜR HERAUSGEBER:

ÜBER DIE VEREINBARUNG

Actelion hat mit ReveraGen BioPharma, Inc., einer Gesellschaft nach dem Recht des Staates Delaware, USA, eine Lizenz-, kooperative Entwicklungs- und Kommerzialisierungsvereinbarung zur Erforschung und gemeinsamen Entwicklung von Vamorolone, einem nicht-hormonalen Steroidmodulator primär zur Behandlung von Muskeldystrophie Duchenne (DMD) abgeschlossen. Bisher hat Actelion insgesamt USD 10 Millionen an ReveraGen gezahlt, welche als F&E-Ausgaben ausgewiesen wurden. Gemäss der Vertragsbedingungen wird Actelion in den nächsten drei Jahren auch F&E-Aktivitäten unterstützen, wobei der Höchstbetrag dafür bei USD 1 Million pro Jahr liegt. Weiterhin erwarb Actelion eine Option auf die globalen Exklusivrechte zur Einlizenzierung von Vamorolone zu einem beliebigen Zeitpunkt, jedoch nicht später als nach Erhalt der Ergebnisse der IIb-Studie. Wenn die Option ausgeübt wird, hat ReveraGen einen Anspruch auf Milestone-Zahlungen in Höhe von USD 165 Millionen für die Indikation DMD, und auf weitere USD 190 Millionen für drei weitere Indikationen, abhängig vom Erreichen bestimmter Meilensteine in den Bereichen F&E, Registrierung und Kommerzialisierung. Desweiteren wird Actelion gestaffelte Lizenzgebühren im ein- bis zweistelligen Bereich auf den Nettoumsatz von Vamorolone zahlen.

ÜBER VAMOROLONE

Vamorolone ist der erste am Menschen getestete steroidähnliche Wirkstoff, der Anzeichen für eine effektive Separierung einer Anzahl von Untereigenschaften (Sub-Properties) zeigt, wie sie von Kortikosteroiden bekannt sind. Tiermodelle weisen darauf hin, dass Vamorolone bestimmte mit der Wirksamkeit von Kortikosteroiden verbundene Eigenschaften (insbesondere die anti-entzündliche Wirkung) aufrechterhält und zusätzlich membranstabilisierende Eigenschaften sowie Charakteristika von Mineralkortikoid-Rezeptor-Antagonisten aufweist. Dabei ist Vamorolone nicht mit Wachstumsstörungen und Immunsuppression verbunden, den Nebenwirkungen von Kortikosteroiden.

Die Behandlung mit Vamorolone im Frühstadium von DMD hat das Potential, die Muskelfunktion besser aufrechtzuerhalten, als dies gegenwärtig geschieht, ohne einige der Nebenwirkungen, welche die Behandlungsmöglichkeiten mit Kortikosteroiden einschränken, vor allem bei sehr jungen Kindern.

Vamorolone hat sowohl in den USA als auch in Europa den Status als Orphan Drug erhalten. ReveraGen entwickelt Vamorolone in parallelen klinischen Studienprogrammen in den USA und in Europa. Die klinischen Studien der Phase I wurden Ende 2015 abgeschlossen. Gegenwärtig läuft ein Programm der Phase IIa, das die Sicherheit und Wirksamkeit von Vamorolone bei vier- bis siebenjährigen steroidnaiven Jungen mit Duchenne untersucht, d.h. von Patienten, die noch nicht mit Prednison oder Deflazacort behandelt wurden. Das klinische DMD-Programm wird in Zusammenarbeit zwischen CINRG Group und Newcastle University (Kate Bushby und Michela Guglieri) entwickelt und durchgeführt. Ein Programm der Phase IIb ist in Planung.

ÜBER MUSKELDYSTROPHIE DUCHENNE (DMD)

Muskeldystrophie Duchenne ist eine schwerwiegende und aggressive genetische Erkrankung, bei der ein progressiver Muskelabbau zu fortschreitender Schwäche, Behinderung und frühem Tod führt. Ursache der Krankheit ist die Mutation eines Gens, das Dystrophin kodiert – ein Protein, das eine entscheidende Rolle bei der Aufrechterhaltung der normalen Muskelfunktion spielt. Das Fehlen von Dystrophin hat eine verminderte Stabilität der Muskelzellmembran zur Folge. Auf diese Weise können Muskelzellen leicht beschädigt werden und sterben ab.

Duchenne ist wie auch Hämophilie und die Rot-Grün-Schwäche eine X-verknüpfte Krankheit. Da das Dystrophin-Gen auf dem X-Chromosom lokalisiert ist, von dem Frauen zwei und Männer nur eines besitzen, haben Frauen einen „Backup“, falls eines der Gene beschädigt ist, und können noch ausreichend Dystrophin zur Erhaltung der Muskelfunktion produzieren. Frauen können jedoch Konduktorinnen sein und das X-Chromosom mit dem mutierten Dystrophin-Gen an ihre Söhne weitergeben, die abhängig von der Art der Mutation mit hoher Wahrscheinlichkeit an Muskeldystrophie Duchenne oder Muskeldystrophie Becker-Kiener – einer milderen, mit Duchenne verwandten Form der Muskeldystrophie – erkranken.

Es wird geschätzt, dass etwa eines von 3500 männlichen Neugeborenen von der Krankheit betroffen ist. Jährlich treten weltweit 20.000 neue Fälle auf. Die Krankheit manifestiert sich meistens in der frühen Kindheit, mit verzögerten motorischen Entwicklungsphasen. Im Alter von vier bis fünf Jahren werden Mobilitäts- und Bewegungsprobleme wie Stürze oder Schwierigkeiten beim Treppensteigen immer deutlicher. Mit abnehmender Muskelfunktion sind die betroffenen Jungen zunehmend auf physische Unterstützung und ab einem Alter von etwa sieben bis dreizehn Jahren auf den Rollstuhl angewiesen. Mit fortschreitendem Krankheitsverlauf können auch Arm-, Brust- und Halsmuskeln sowie der Herzmuskel und das Zwerchfell geschwächt werden. Im jungen Erwachsenenalter führt die Krankheit zu einem vorzeitigen Tod, meist infolge von Atem- oder Herzversagen aufgrund der extremen Muskelschwäche.

REVERAGEN BIOPHARMA, INC.

ReveraGen BioPharma, Inc., ist ein privates pharmazeutisches Unternehmen, das 2008 gegründet wurde und seinen Sitz in Rockville (MD), USA hat. Der einzige Vermögenswert von ReveraGen, Vamorolone, ist ein proprietärer Wirkstoff für die Behandlung von Muskeldystrophie Duchenne. Die Entwicklung von Vamorolone erfolgt auf der Basis von Venture Philanthropy, in Zusammenarbeit mit staatlichen Institutionen wie den US National Institutes of Health, der Europäischen Gemeinschaft und internationalen Organisationen, einschliesslich der Foundation to Eradicate Duchenne, Parent Project Muscular Dystrophy, Save our Sons und anderen. Insgesamt wurden bis heute von Regierungsstellen und Interessengruppen USD 20 Millionen zur Verfügung gestellt.

ACTELION LTD

Actelion Ltd. ist ein führendes biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entdeckung, Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf konzentriert.

Actelion ist wegweisend auf dem Gebiet der pulmonalen arteriellen Hypertonie (PAH). Unser PAH-Portfolio umfasst Medikamente zur oralen, inhalierbaren und intravenösen Therapie der WHO-Funktionsklassen II bis IV und deckt damit das gesamte Behandlungsspektrum ab. Actelion verfügt zudem über behördlich zugelassene, jedoch nicht in allen Ländern erhältliche Therapien für eine Reihe von Krankheiten, die durch Spezialisten behandelt werden. Hierzu zählen Typ-1-Gaucher-Krankheit, Niemann-Pick-Krankheit Typ C, digitale Ulzerationen bei Patienten mit systemischer Sklerose sowie Mycosis fungoides vom Typ kutanes T-Zell-Lymphom.

Das Unternehmen wurde Ende 1997 gegründet und beschäftigt inzwischen über 2500 engagierte Fachkräfte. Actelion ist in allen wichtigen Märkten der Welt präsent, darunter Europa, USA, Japan, China, Russland und Mexiko. Der Hauptsitz des Unternehmens befindet sich in Allschwil / Basel, Schweiz.

Actelion Aktien werden an der SIX Swiss Exchange als Teil des Blue-Chip-Index SMI (Swiss Market Index SMI®) gehandelt (Symbol: ATLN). Alle Markennamen sind rechtlich geschützt.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Actelion:

Andrew C. Weiss

Senior Vice President, Head of Investor Relations & Corporate Communications

Actelion Pharmaceuticals Ltd, Gewerbestrasse 16, CH-4123 Allschwil

+41 61 565 62 62

<http://www.actelion.com>

ReveraGen BioPharma, Inc.:

Eric Hoffman

Chief Executive Officer

ReveraGen BioPharma, Inc., 155 Gibbs St, Suite 433, Rockville, MD, 20850

+001 301 762 7980

<http://www.reveragen.com>

Die oben aufgeführten Informationen enthalten gewisse zukunftsgerichtete Aussagen betreffend des Geschäfts der Gesellschaft, die durch Benutzung von Begriffen wie "schätzt", "glaubt", "erwartet", "werden", "sollte", "würde", "suchen", "pendent", "geht davon aus" oder ähnlichen Ausdrücken sowie durch Diskussion von Strategie, Plänen oder Absichten identifiziert werden können. Derartige Aussagen beinhalten Beschreibungen der Forschungs- und Entwicklungsprogramme der Gesellschaft und den damit in Zusammenhang stehenden Aufwänden, Beschreibungen von neuen Produkten, welche voraussichtlich durch die Gesellschaft zum Markt gebracht werden und die Nachfrage für solche bereits existierenden oder erst in Aussicht stehenden Produkte. Derartige zukunftsgerichtete Aussagen reflektieren die gegenwärtigen Ansichten der Gesellschaft bezüglich dieser zukünftigen Ereignisse und unterliegen bekannten und unbekanntem Risiken, Unsicherheiten und Annahmen. Viele Faktoren können die effektive Performance, Resultate oder Leistungen beeinflussen, sodass sie erheblich von derartigen ausdrücklichen oder implizit erwähnten zukunftsgerichteten Aussagen abweichen können. Sollten eines oder mehrere dieser Risiken eintreten oder Annahmen sich als nicht korrekt herausstellen, können die effektiven Resultate der Gesellschaft erheblich von den erwarteten abweichen.