

Presse-Information

AskBio nimmt ersten Patienten in Gentherapie-Studie bei kongestiver Herzinsuffizienz auf

- AB-1002 ist eine Gentherapie in der Entwicklung zur Behandlung von Erwachsenen mit nicht-ischämischer Kardiomyopathie und New York Heart Association (NYHA) Klasse III Herzinsuffizienz-Symptomen¹
 - GenePHIT ist die bisher größte klinische Studie bei Patienten mit kongestiver Herzinsuffizienz um die Sicherheit und Wirksamkeit der einmaligen Verabreichung von AB-1002 zu untersuchen¹
-

Berlin, Deutschland und Research Triangle Park, NC, USA, 13. Februar 2024 – Bayer und Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio), ein Gentherapie- Unternehmen und hundertprozentige, unabhängig betriebene Tochtergesellschaft von Bayer, haben heute bekannt gegeben, dass der erste Patient im Rahmen von GenePHIT (Gene PHosphatase Inhibition Therapy), einer Phase II-Studie mit AB-1002 (auch als NAN-101 bekannt) zur Behandlung von kongestiver Herzinsuffizienz (CHF), randomisiert wurde.

GenePHIT ist eine adaptive, doppelblinde, placebokontrollierte, randomisierte, multizentrische Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit einer einmaligen intrakoronaren Infusion von AB-1002 bei Erwachsenen mit nicht-ischämischer Kardiomyopathie und Herzinsuffizienzsymptomen der New York Heart Association (NYHA) Klasse III, die seit mindestens vier Wochen medizinisch stabil sind. Dies ist ein Meilenstein in der Entwicklung von AB-1002 zur Behandlung von CHF und bringt diesen Entwicklungskandidaten einen Schritt näher an die Behandlung von Patienten mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf.²

GenePHIT wird ca. 90 bis 150 Patienten mit einer linksventrikulären Ejektionsfraktion zwischen 15 und 35% einschließen, die trotz der in den Leitlinien empfohlenen Therapie weiterhin unter Symptomen einer Herzinsuffizienz leiden. Der primäre

Wirksamkeitsendpunkt nach 52 Wochen ist eine positive Entwicklung mehrerer klinisch bedeutsamer Bewertungen.¹

„Die Randomisierung des ersten Patienten im Rahmen der Phase-II-Studie GenePHIT ist ein wichtiger Schritt für Herzinsuffizienzpatienten“, sagte Timothy D. Henry, MD, MSCAI, Principal Investigator und Mitglied des Steering Committee. „GenePHIT wird an der bisher größten Anzahl von Patienten die Sicherheit und Wirksamkeit von AB-1002 untersuchen und unser Verständnis der Gentherapie zur Behandlung von Herzinsuffizienz insgesamt verbessern. Der Beginn dieser Studie bringt uns einen Schritt näher an eine mögliche Änderung des Verlaufs dieser tödlichen und verheerenden Krankheit.“

„Die Bekanntgabe dieses wichtigen Updates der GenePHIT-Studie während der Heart Failure Awareness Week, verleiht diesem Meilenstein eine besondere Bedeutung“, sagte Roger J. Hajjar, MD, Scientific Chair CHF, AskBio. „Die Aufnahme dieses ersten Patienten in die Phase-II-Studie stellt den Höhepunkt vieler Jahre engagierter Forschung und Entwicklung in allen Aspekten der kardialen Gentherapie bei kongestiver Herzinsuffizienz dar. Obwohl es noch viel über diesen frühen Entwicklungskandidaten zu lernen gibt, hoffen wir, dass die heutige Mitteilung eine ermutigende Nachricht für alle ist, die auf neue Behandlungsmöglichkeiten hoffen und die Fähigkeit von AskBio unterstreicht, die Gentherapie AB-1002 für die Behandlung von Herzinsuffizienz voranzutreiben.“

„Herzinsuffizienz ist eine schwerwiegende Krankheit mit wachsendem medizinischem Bedarf, insbesondere in unserer alternden Gesellschaft“, sagte Christian Rommel, Mitglied des Executive Committee der Division Pharmaceuticals von Bayer und Leiter der Forschung und Entwicklung. „Diese Gentherapie hat ein großes Potenzial, diese Krankheit grundlegend zu behandeln. Wir freuen uns sehr über diesen Schritt auf unserem Weg, Patienten innovative Behandlungsmöglichkeiten anzubieten.“

AB-1002 ist ein Gentherapie kandidat in der Entwicklung, welcher noch von keiner Zulassungsbehörde genehmigt wurde und deren Wirksamkeit und Sicherheit nicht vollständig nachgewiesen oder bewertet wurde. AB-1002 wird von Viralgen Vector Core S.L. hergestellt, einer hundertprozentigen und unabhängig betriebenen Tochtergesellschaft von AskBio.

Über GenePHIT

GenePHIT ist eine adaptive, doppelblinde, placebokontrollierte, randomisierte, multizentrische Phase-II-Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit der einmaligen Verabreichung von AB-1002 mittels antegrader intrakoronarer Infusion bei Männern und Frauen im Alter von über 18 Jahren mit nicht-ischämischer Kardiomyopathie und Herzinsuffizienzsymptomen der NYHA-Klasse III.¹ Die Probanden werden im Verhältnis 1:1:1 in eine von drei Behandlungsgruppen randomisiert und erhalten entweder eine hohe Dosis, niedrige Dosis oder Placebo. Zu den primären Endpunkten gehören kardiovaskulär bedingte Todesfälle und Veränderungen gegenüber dem Ausgangswert bei der NYHA-Klassifizierung, der linksventrikulären Auswurfraction (LVEF), der maximalen Sauerstoffaufnahme (pVO₂) und dem Sechs-Minuten-Gehtest (6MWT).¹ Weitere Informationen sind unter clinicaltrials.gov (NCT#[05598333](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05598333)) oder unter askbio.com zu finden.

Über kongestive Herzinsuffizienz

Herzinsuffizienz tritt auf, wenn das Herz das Blut nicht effizient genug pumpen kann, um die Bedürfnisse des Körpers zu erfüllen, einschließlich der Versorgung der Organe mit ausreichend Sauerstoff.² Kongestive Herzinsuffizienz führt zu einer Verlangsamung des Blutflusses aus dem Herzen, wodurch sich das Blut, das über die Venen zum Herzen zurückfließt, staut.³ Dies führt zu einer Stauung im Gewebe des Körpers. Zu den Symptomen gehören Schwellungen in den Beinen und Knöcheln. Manchmal sammelt sich auch Flüssigkeit in der Lunge und behindert die Atmung.⁴ Weltweit leben etwa 26 Millionen Menschen mit kongestiver Herzinsuffizienz.⁵

Über AskBio

Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio), eine hundertprozentige und unabhängig geführte Tochtergesellschaft der Bayer AG, ist ein voll integriertes Gentherapie-Unternehmen, das sich der Entwicklung lebensrettender Medikamente widmet und Leben verändert. Das Unternehmen forscht an einem Portfolio klinischer Programme im Bereich von neuromuskulären, zentralnervösen, kardiovaskulären und metabolischen Erkrankungen. Die Pipeline umfasst Therapeutika für Herzinsuffizienz, Chorea Huntington, Gliedergürtelmuskeldystrophie, multiple Systematrophie, Parkinson und Pompe-Krankheit. Die Gentherapieplattform von AskBio umfasst Pro10™, ein branchenführendes proprietäres Verfahren zur Herstellung von Zelllinien, sowie eine umfangreiche Kapsid- und Promotorbibliothek. Das Unternehmen mit Hauptsitz in Research Triangle Park, North Carolina, und europäischem Hauptsitz in Edinburgh,

Schottland, hat Hunderte von firmeneigenen Kapsiden und Promotoren entwickelt, von denen mehrere bereits in präklinischen und klinischen Tests getestet wurden. Als früher Innovator im Bereich der Gentherapie mit über 900 Mitarbeitern in fünf Ländern hält das Unternehmen mehr als 800 Patente und Patentanmeldungen in Bereichen wie der AAV-Produktion und chimären Kapsiden. Mehr unter www.askbio.com oder auf LinkedIn.

Über Bayer

Bayer ist ein weltweit tätiges Unternehmen mit Kernkompetenzen auf den Life-Science-Gebieten Gesundheit und Ernährung. Mit seinen Produkten und Dienstleistungen will das Unternehmen Menschen nützen und die Umwelt schonen, indem es zur Lösung grundlegender Herausforderungen einer stetig wachsenden und alternden Weltbevölkerung beiträgt. Bayer verpflichtet sich dazu, mit seinen Geschäften einen wesentlichen Beitrag zur nachhaltigen Entwicklung zu leisten. Gleichzeitig will der Konzern seine Ertragskraft steigern sowie Werte durch Innovation und Wachstum schaffen. Die Marke Bayer steht weltweit für Vertrauen, Zuverlässigkeit und Qualität. Im Geschäftsjahr 2022 erzielte der Konzern mit rund 101.000 Beschäftigten einen Umsatz von 50,7 Milliarden Euro. Die Ausgaben für Forschung und Entwicklung beliefen sich bereinigt um Sondereinflüsse auf 6,2 Milliarden Euro. Weitere Informationen sind im Internet zu finden unter www.bayer.com/de

Über Viralgen Vector Core

Viralgen ist eine 2017 gegründete Contract Development and Manufacturing Organization (CDMO) und existiert als unabhängig betriebene Tochtergesellschaft von AskBio, die sich zu 100 % im Besitz der Bayer AG befindet und unabhängig betrieben wird. Als Hersteller von Current Good Manufacturing Practice (cGMP) zertifizierten AAV bietet Viralgen die Pro10™ basierte Suspensionsherstellungsplattform an, eine von AskBio lizenzierte Technologie, die von Chief Technical Officer Josh Grieger, PhD, und Mitbegründer R. Jude Samulski, PhD, an der University of North Carolina entwickelt wurde. Die Pro10™-Plattform erhöht nachweislich die Skalierbarkeit, Leistung und Ausbeute von AAV-Therapien.⁶ Viralgen hat seinen Sitz in Spanien im Wissenschafts- und Technologiepark Gipuzkoa und produziert AAV-Gentherapien für Pharma- und Biotech-Unternehmen mit dem Ziel, die Bereitstellung neuer Behandlungen zu beschleunigen, die das Leben von Patienten verbessern könnten.

Die klinischen Einrichtungen des Unternehmens verfügen über vier cGMP-Produktionssuiten mit 250-Liter- und 500-Liter-Bioreaktoren. Im Jahr 2020 expandierte

Viralgen innerhalb des Wissenschaftsparks durch den Bau eines neuen Gebäudes mit drei Modulen für die kommerzielle Herstellung in großem Maßstab. Jedes Modul der hochmodernen Anlage umfasst drei cGMP-Suiten mit einer Produktionskapazität von mehr als 2.000 Litern. Das erste Modul, das eine Suite für vollautomatische Abfüll- und Veredelungsvorgänge umfasst, hat die cGMP-Zertifizierung der spanischen Agentur für Arzneimittel und Medizinprodukte (AEMPS) als Teil des EMA-Netzwerks erhalten. Weitere Informationen unter viralgenvc.com.

AskBio Medien-Kontakt:

Phil McNamara, Tel. +1 (984) 5207211

E-Mail: pmcnamara@askbio.com

Bayer Global Medien-Kontakt:

Dr. Nuria Aiguabella Font, Tel. +49 (173) 2329691

E-Mail: nuria.aiguabellafont@bayer.com

Mehr Informationen finden Sie unter www.askbio.com und www.bayer.com/de.
Folgen Sie uns auf [LinkedIn](#).

na (2024-0031)

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Presse-Information kann bestimmte in die Zukunft gerichtete Aussagen enthalten, die auf den gegenwärtigen Annahmen und Prognosen der Unternehmensleitung von Bayer beruhen. Verschiedene bekannte wie auch unbekannte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren können dazu führen, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Entwicklung oder die Performance der Gesellschaft wesentlich von den hier gegebenen Einschätzungen abweichen. Diese Faktoren schließen diejenigen ein, die Bayer in veröffentlichten Berichten beschrieben hat. Diese Berichte stehen auf der Bayer-Website www.bayer.com/de zur Verfügung. Die Gesellschaft übernimmt keinerlei Verpflichtung, solche zukunftsgerichteten Aussagen fortzuschreiben und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklungen anzupassen.

¹ Phosphatase Inhibition by Intracoronary Gene Therapy in Subjects With Non-Ischemic NYHA Class III Heart Failure (GenePHIT). Available at: <https://classic.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05598333>. Accessed February 2024.

² Malik A, Brito D, Vaqar S, Chhabra L. Congestive Heart Failure. In: StatPearls. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; November 5, 2023.

³ CDC. Heart failure. Centers for Disease Control and Prevention. Published 2022. Available at: https://www.cdc.gov/heartdisease/heart_failure.htm. Accessed February 2024.

⁴ AHA. Types of Heart Failure. American Heart Association. Published 2023. Available at: <https://www.heart.org/en/health-topics/heart-failure/what-is-heart-failure/types-of-heart-failure>. Accessed February 2024.

⁵ Savarese G, Lund LH. Global Public Health Burden of Heart Failure. Card Fail Rev. 2017;3(1):7-11. doi:10.15420/cfr.2016:25:2.

⁶ Grieger JC, Soltys SM, Samulski RJ. Production of Recombinant Adeno-associated Virus Vectors Using Suspension HEK293 Cells and Continuous Harvest of Vector From the Culture Media for GMP FIX and FLT1 Clinical Vector. *Mol Ther*. 2016;24(2):287-297.