

Santhera gibt die Veröffentlichung von klinischen Phase-I-Daten mit POL6014 im Journal of Cystic Fibrosis bekannt

Pratteln, Schweiz, 10. September 2019 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Online-Publikation von Phase-I-Daten mit dem humanen neutrophilen Elastase (hNE)-Inhibitor POL6014 im *Journal of Cystic Fibrosis* [1] bekannt. Die Daten zeigten, dass nach Einzeldosis-Inhalation von POL6014 hohe Wirkstoffkonzentrationen in der Lunge erreicht werden; im Sputum von Patienten führt dies zu einer Hemmung von hNE, einem Enzym, das die Entzündung des Lungengewebes mit verursacht.

POL6014 ist ein innovativer, potenter und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE) in der klinischen Entwicklung zur Behandlung der Mukoviszidose (CF). Bei CF beschleunigt eine übermässige Freisetzung von Enzymen wie hNE die Entzündung und Schädigung des Lungengewebes, was zu einer fortschreitenden Atmungsinsuffizienz führt. Die beiden jetzt veröffentlichten doppelblinden, Placebo-kontrollierten Studien untersuchten die Sicherheit, Verträglichkeit und Pharmakokinetik von aufsteigenden Einmaldosierungen von inhaliertem POL6014 bei gesunden Probanden und Patienten mit CF.

In den beiden Studien wurden insgesamt 48 gesunde Probanden und 24 CF-Patienten in verschiedene POL6014-Dosisgruppen oder Placebo randomisiert. Gesunde Freiwillige erhielten POL6014 in Dosen von 20 mg bis 960 mg; CF-Patienten wurden mit 80 mg, 160 mg oder 320 mg dosiert. Kurz nach der Inhalation von POL6014 wurde eine deutliche Reduktion von aktivem hNE im Sputum bei allen bei CF-Patienten getesteten Dosen beobachtet. Zudem waren bei diesen Patienten die im Sputum 3 bzw. 24 Stunden nach der Inhalation gemessenen POL6014-Spiegel bis zu 1000-mal höher als die Plasmaspiegel, was auf eine hohe Konzentration von POL6014 in der Lunge und eine sehr begrenzte systemische Medikamentenbelastung hindeutet. Dosen von bis zu 480 mg POL6014 wurden als sicher und gut verträglich eingestuft.

„Wir sind ermutigt durch diese frühen Daten bei gesunden Probanden und Patienten mit Mukoviszidose. POL6014 bringt neue Perspektiven für die gegenwärtige CF-Therapie, die trotz Fortschritten noch immer keine Behandlung für Entzündungen des Lungengewebes bietet, was eine akute Verschlechterung der Lungenfunktion nach sich ziehen kann. Darüber hinaus zeigt die inhalative Anwendung von POL6014 einen grossen Vorteil gegenüber einer oralen Verabreichung, da sie das Medikament bei geringer systemischer Belastung direkt in die Lunge bringt“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer und Head of Development** bei Santhera. „Als innovativer Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase könnte POL6014 bei einer Reihe anderer Lungenerkrankungen Potenzial haben.“

Auf der Grundlage der erfolgreichen Phase-I-Daten führt Santhera derzeit eine Phase-Ib/Ila-MAD (multiple ascending dose)-Studie durch, um die Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von oral inhalativen Mehrfachdosen von POL6014 bei Patienten mit CF zu untersuchen.

Santhera erwarb die weltweiten Exklusivrechte zur Entwicklung und Vermarktung von POL6014 bei CF und anderen Lungenerkrankungen von Polyphor AG. Die Cystic Fibrosis Foundation (CFF) unterstützt die Durchführung der Sicherheits- und Verträglichkeitsstudien mit POL6014 finanziell.

Literaturverweis:

[1] Barth P. et al (2019). Single dose escalation studies with inhaled POL6014, a potent novel selective reversible inhibitor of human neutrophil elastase, in healthy volunteers and subjects with cystic fibrosis. Journal of cystic fibrosis 2019. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.jcf.2019.08.020>

Über POL6014

POL6014 ist ein hochwirksamer und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE) und wurde nach Inhalation mit dem optimierten eFlow® Nebuliser System (PARI Pharma GmbH) in der Lunge in hoher Konzentration nachgewiesen. POL6014 könnte auch einen Therapieansatz bieten für eine Reihe von neutrophilen Lungenerkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf wie Non-CF-Bronchiektasie (NCFB), Alpha-1-Antitrypsin-Mangel (AATD) oder primäre ziliäre Dyskinesie (PCD). POL6014 besitzt in der EU Orphan-Drug-Designation zur Behandlung von AATD, PCD und CF.

Über Mukoviszidose und humane neutrophile Elastase (hNE)

Mukoviszidose (zystische Fibrose, CF) ist eine seltene, erbliche, lebensbedrohliche und chronisch verlaufende Erkrankung, von der in den USA und Europa etwa 70'000 Patienten betroffen sind. Kennzeichnend für Mukoviszidose sind anhaltende Infektionen und chronische Entzündungen der Lunge, die im Laufe der Zeit zu einer Atmungsinsuffizienz führen. Von aktivierten oder nekrotischen Neutrophilen in der Lunge freigesetzte humane neutrophile Elastase (hNE) schädigt strukturelle, zelluläre und lösliche Bestandteile der Lungenmikroumgebung. Hohe Konzentrationen von hNE spielen eine zentrale Rolle in der Pathophysiologie der Mukoviszidose und, wie Messungen von Lungenfunktionsparametern zeigen, korrelieren mit der Schwere der Erkrankung. Es ist zu erwarten, dass eine Hemmung von hNE die Schädigung des Lungengewebes stoppt oder verlangsamt und dazu beitragen kann, die Lebensqualität von Menschen mit Mukoviszidose zu verbessern.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Santhera baut ein Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) Produktportfolio auf zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera eine Lizenzoption auf das first-in-class dissoziative Steroid Vamorolone, welches derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Ersatz von Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch POL6014 zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenerkrankungen sowie Omigapil und einen explorativen Gentherapieansatz für kongenitale Muskeldystrophien. Santhera hat die Ex-Nordamerika-Rechte an seinem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an Chiesi Group lizenziert. Weitere Informationen sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® und Puldysa® sind eingetragene Marken von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder
Eva Kalias, Head External Communications
Tel.: +41 79 875 27 80
eva.kalias@santhera.com

Disclaimer / Forward-looking statements

Diese Mitteilung stellt weder ein Angebot noch eine Aufforderung zur Zeichnung oder zum Kauf von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Publikation kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

###