

## Pressemitteilung

# Basilea gibt Erhalt des Orphan-Drug-Status von der US-amerikanischen FDA für Lisavanbulin für die Behandlung von malignen Gliomen bekannt

**Basel, 29. Juli 2021**

Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) Basileas Tumor-Checkpoint-Controller Lisavanbulin für die Behandlung von malignen Gliomen (Hirntumore) den Orphan-Drug-Status erteilt hat. Dies umfasst auch das Glioblastom, die häufigste Form primärer maligner Hirntumore und eine der Krebsarten mit der höchsten Sterblichkeit.<sup>1</sup> Der Orphan-Drug-Status bietet dem Entwickler eines Medikaments verschiedene Vorteile, einschliesslich einer längeren regulatorischen Marktexklusivität.

Dr. Marc Engelhardt, Chief Medical Officer, sagte: „Die Erteilung des Orphan-Drug-Status für Lisavanbulin durch die US-amerikanische FDA ist ein wichtiger Meilenstein für die Entwicklung dieses Medikaments. Glioblastom ist mit einer schlechten Prognose verbunden und die Anzahl der therapeutischen Optionen ist sehr begrenzt. Als zielgerichtete Behandlung könnte Lisavanbulin ein hilfreicher neuer Therapieansatz sein, um so die Behandlungsmöglichkeiten für Patienten mit dieser schwerwiegenden Erkrankung zu erweitern.“

Basilea führt derzeit eine Phase-1/2-Studie bei Patienten mit rezidivierendem Glioblastom durch, in der EB1 (engl. End-binding Protein 1) für die Auswahl geeigneter Patienten eingesetzt wird.<sup>2</sup> In dem bereits vorgestellten Phase-1-Teil der Studie war ein lang anhaltender klinischer Nutzen für zwei Patienten mit rezidivierendem Glioblastom beobachtet worden, deren Tumorgewebe sich bei Anfärbung als EB1-positiv erwies.<sup>3</sup> Interim-Ergebnisse des Phase-2-Teils der Studie werden für das zweite Halbjahr 2021 erwartet.

## Über Lisavanbulin (BAL101553)

Basileas Onkologie-Medikamentenkandidat Lisavanbulin (BAL101553, das Prodrug des Wirkstoffs BAL27862)<sup>4</sup> wird derzeit für die potenzielle Behandlung von Glioblastom entwickelt.<sup>2, 5, 6</sup> In präklinischen Studien zeigte Lisavanbulin In-vitro- und In-vivo-Wirksamkeit in verschiedenen behandlungsresistenten Krebsmodellen, darunter auch solchen Tumoren, die auf konventionelle Medikamente und Strahlentherapie nicht ansprechen.<sup>7, 8, 9</sup>

Lisavanbulin verteilt sich effizient im Hirngewebe und zeigte Antikrebs-Aktivität in Glioblastom-Modellen.<sup>10, 11</sup> In präklinischen Studien wurde das „End-binding Protein 1“ (EB1) als potenzieller Biomarker für das Ansprechen auf den Wirkstoff in Glioblastoma-Modellen identifiziert und in Gewebeproben von Glioblastom-Patienten erwiesen sich rund 5 % als stark EB1-positiv.<sup>12, 13</sup>

Bei den Nicht-Glioblastom-Tumortypen zeigten die Gewebeproben von Medulloblastomen und Neuroblastomen die stärkste Expression von EB1. Dies sind Krebsarten, die vor allem bei pädiatrischen Patienten auftreten. EB1-positive Färbungen wurden ausserdem in Gewebeproben von Patienten mit metastasierendem Melanom (Hautkrebs) gefunden. Weitere Tumore, darunter nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom, Darmkrebs und dreifach-negativer Brustkrebs, zeigten eine etwas geringere EB1-Färbung.<sup>13</sup> Die aktive Wirksubstanz BAL27862 bindet an die Colchicin-Bindungsstelle von Tubulin, was spezifische Auswirkungen auf die Anordnung der Mikrotubuli hat.<sup>14</sup> Dadurch kommt es zur Aktivierung des sogenannten „*Spindle-Assembly-Checkpoints*“, der das Absterben von Tumorzellen fördert.<sup>15</sup>

## Über Basilea

Basilea ist ein im Jahr 2000 mit Hauptsitz in der Schweiz gegründetes biopharmazeutisches Unternehmen mit bereits vermarkteten Produkten. Unser Ziel ist es, innovative Medikamente zu entdecken, zu entwickeln und zu vermarkten, um Patienten zu helfen, die an Krebs oder Infektionen erkrankt sind. Mit Cresemba und Zevtera haben wir erfolgreich zwei Medikamente für den Einsatz im Spital auf den Markt gebracht: Cresemba zur Behandlung von invasiven Pilzinfektionen und Zevtera für die Behandlung schwerer bakterieller Infektionen. In klinischen Studien erproben wir zwei potenzielle Medikamente für die gezielte Behandlung verschiedener Krebserkrankungen. Zudem haben wir in unserem Portfolio eine Reihe von präklinischen Wirkstoffkandidaten für die beiden Bereiche Onkologie und Infektionskrankheiten. Basilea ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (Börsenkürzel SIX: BSLN). Besuchen Sie bitte unsere Webseite [basilea.com](http://basilea.com).

## Ausschlussklausel

Diese Mitteilung enthält explizit oder implizit gewisse zukunftsgerichtete Aussagen wie «glauben», «annehmen», «erwarten», «prognostizieren», «planen», «können», «könnten», «werden» oder ähnliche Ausdrücke betreffend Basilea Pharmaceutica AG und ihrer Geschäftsaktivitäten, u.a. in Bezug auf den Fortschritt, den Zeitplan und den Abschluss von Forschung und Entwicklung sowie klinischer Studien mit Produktkandidaten. Solche Aussagen beinhalten bekannte und unbekanntes 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:

**Dr. Peer Nils Schröder**

Head of Corporate Communications & Investor Relations

Telefon +41 61 606 1102

E-Mail [media\\_relations@basilea.com](mailto:media_relations@basilea.com)  
[investor\\_relations@basilea.com](mailto:investor_relations@basilea.com)

Diese Pressemitteilung ist unter [www.basilea.com](http://www.basilea.com) abrufbar.

**Quellenangaben**

1. B. M. Alexander, T. F. Cloughesy. Adult Glioblastoma. *Journal of Clinical Oncology* 2017 (35), 2402-2409
2. ClinicalTrials.gov identifier: NCT02490800; C. Tiu, S. Derby, N. Md. Haris et al. The potential utility of end-binding protein 1 (EB1) as response-predictive biomarker for lisavanbulin: A phase 2 study of lisavanbulin (BAL101553) in adult patients with recurrent glioblastoma. *Journal of Clinical Oncology* 2021, 39 (15 Supplement, TPS2068)
3. C. Tiu, A. Tzankov, R. Plummer et al. The potential utility of end-binding protein 1 (EB1) as response-predictive biomarker for lisavanbulin: Final results from a phase I study of lisavanbulin (BAL101553) in adult patients with recurrent glioblastoma (GBM). *Annals of Oncology* 2020 (31) Supplement 4, S396-S408
4. J. Pohlmann, F. Bachmann, A. Schmitt-Hoffmann et al. BAL101553: An optimized prodrug of the microtubule destabilizer BAL27862 with superior antitumor activity. *Cancer Research* 2011, 71 (8 Supplement), Abstract 1347
5. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03250299
6. ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02895360
7. A. Sharmq, A. Broggini-Tenzer, V. Vuong et al. The novel microtubule targeting agent BAL101553 in combination with radiotherapy in treatment-refractory tumor models. *Radiotherapy Oncology* 2017 (124), 433-438
8. G. E. Duran, H. Lane, F. Bachmann et al. In vitro activity of the novel tubulin active agent BAL27862 in MDR1(+) and MDR1(-) human breast and ovarian cancer variants selected for resistance to taxanes. *Cancer Research* 2010, 70 (8 supplement), Abstract 4412
9. F. Bachmann, K. Burger, G. E. Duran et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): A unique microtubule destabilizer active against drug refractory breast cancers alone and in combination with trastuzumab. *Cancer Research* 2014, 74 (19 supplement), Abstract 831
10. A. Schmitt-Hoffmann, D. Klauer, K. Gebhardt et al. BAL27862: a unique microtubule-targeted agent with a potential for the treatment of human brain tumors. *Molecular Cancer Therapeutics* 2009, 8 (12 Supplement), C233
11. A. C. Mladek, J. L. Pokorny, H. Lane et al. The novel tubulin-binding 'tumor checkpoint controller' BAL101553 has anti-cancer activity alone and in combination treatments across a panel of GBM patient-derived xenografts. *Cancer Research* 2016, 76 (14 Supplement), Abstract 4781
12. R. Bergès, A. Tchoghandjian, S. Honoré et al. The novel tubulin-binding checkpoint activator BAL101553 inhibits EB1-dependent migration and invasion and promotes differentiation of glioblastoma stem-like cells. *Molecular Cancer Therapeutics* 2016 (15), 2740-2749
13. M. Skowronska, C. Tiu, A. Tzankov et al. Expression of end-binding protein 1 (EB1), a potential response-predictive biomarker for lisavanbulin, in glioblastoma and various other solid tumor types. *Journal of Clinical Oncology* 2021, 39 (15 Supplement, 3118)
14. A. E. Prota, F. Danel, F. Bachmann et al. The novel microtubule-destabilizing drug BAL27862 binds to the colchicine site of tubulin with distinct effects on microtubule organization. *Journal of Molecular Biology* 2014 (426), 1848-1860
15. F. Bachmann, K. Burger, H. Lane. BAL101553 (prodrug of BAL27862): the spindle assembly checkpoint is required for anticancer activity. *Cancer Research* 2015, 75 (15 Supplement), Abstract 3789