

Pressemitteilung

Basilea berichtet über die im Jahr 2021 erzielten Fortschritte im Portfolio

- Erreichen wichtiger Meilensteine bei Cresemba® (Isavuconazol) und Zevtera® (Ceftobiprol)
- Erweiterung der Onkologie-Pipeline um den neuen klinischen Kandidaten BAL0891 und Fortschritte in den klinischen Programmen mit Derazantinib und Lisavanbulin

Basel, 06. Januar 2022

Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN), ein biopharmazeutisches Unternehmen mit bereits vermarkteten Produkten und dem Ziel, Patienten zu helfen, die an Infektionen oder Krebs erkrankt sind, informierte heute über die Fortschritte, die das Unternehmen im Jahr 2021 sowohl bei seinen vermarkteten Produkten als auch bei seinen wichtigsten Forschungs- und Entwicklungsprogrammen erzielt hat. Das Unternehmen erreichte wichtige Meilensteine und wird sich auch im Jahr 2022 auf die Umsetzung seiner Strategie zur weiteren Wertschöpfung konzentrieren.

David Veitch, Chief Executive Officer, kommentierte: «Wichtige Meilensteine für unsere Produkte im Bereich Antiinfektiva waren die Marktzulassung von Cresemba in China für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Mukormykose, die unserem Partner Pfizer erteilt wurde, und die Einreichung eines Zulassungsantrags für Isavuconazol in Japan durch unseren Partner Asahi Kasei Pharma. Für Zevtera erwarten wir diesen Januar den Abschluss der Patientenrekrutierung für die Phase-3-Studie ERADICATE. Dies wird ein wichtiger Meilenstein für einen möglichen zukünftigen Markteintritt in den USA sein.» Topline-Ergebnisse der ERADICATE-Studie¹ werden voraussichtlich Mitte des Jahres 2022 vorliegen.

Bedeutende Fortschritte wurden auch in Basileas Onkologie-Pipeline erzielt, die den FGFR-Inhibitor Derazantinib², den Tumor-Checkpoint-Controller Lisavanbulin sowie den kürzlich in das klinische Portfolio aufgenommenen Mitose-Checkpoint-Inhibitor BAL0891 umfasst.

Dr. Marc Engelhardt, Chief Medical Officer, sagte: «Derazantinib ist unser am weitesten fortgeschrittener Arzneimittelkandidat in der Onkologie. Die im September 2021 veröffentlichten positiven finalen Ergebnisse für Derazantinib bei FGFR2-Fusions-positivem Gallengangkrebs in der FIDES-01-Studie unterstreichen das günstige Nutzen-Risiko-Profil von Derazantinib in dieser Indikation.»

Antiinfektiva – die wichtigsten Highlights

- Im Dezember 2021 erhielt Basileas Partner Pfizer in China die Zulassung für die orale Darreichungsform von Cresemba zur Behandlung von Erwachsenen mit invasiver Mukormykose. Dies löste eine Meilensteinzahlung in Höhe von USD 10 Mio. an Basilea aus.
- Im September 2021 reichte Basileas Partner Asahi Kasei Pharma einen Antrag auf Marktzulassung (New Drug Application, NDA) von Isavuconazol in Japan zur Behandlung der Pilzinfektionen Aspergillose, Mukormykose und Kryptokokkose ein. Die Einreichung basiert auf den Ergebnissen einer Anfang 2021 abgeschlossenen Phase-3-Studie³ und löste eine Meilensteinzahlung an Basilea in Höhe von CHF 5 Mio. aus. Eine Entscheidung der japanischen Gesundheitsbehörden über den NDA wird für H2 2022 erwartet.
- Im Juli 2021 schloss Basilea eine Vereinbarung mit dem Moskauer Pharmaunternehmen JSC Lancet über den Vertrieb von Zevtera in Russland und den anderen Ländern der Eurasischen Wirtschaftsunion ab.
- Im Mai 2021 erhielt Basilea Fördergelder von bis zu USD 2.7 Mio. von CARB-X (Combating Antibiotic-Resistant Bacteria Biopharmaceutical Accelerator) für die Entwicklung selektiver Inhibitoren des bakteriellen Enzyms DXR. Dies ist ein für das Überleben vieler gramnegativer Bakterien essenzielles Enzym, welches bisher noch nicht als Angriffsziel für antibakterielle Wirkstoffe dient.

Die anhaltend starke kommerzielle Performance von Cresemba im Jahr 2021 löste mehrere Meilensteinzahlungen durch die Partner an Basilea aus. Zum Jahresende 2021 war Cresemba in mehr als 60 Ländern zugelassen und wurde in 55 Ländern vermarktet, darunter in den USA, den meisten EU-Mitgliedsstaaten und weiteren Ländern innerhalb und ausserhalb Europas. Im Zwölfmonatszeitraum zwischen Oktober 2020 und September 2021 beliefen sich die weltweiten «In-Market»-Umsätze von Cresemba auf über USD 300 Mio. Das entspricht einem Wachstum von 26.5 Prozent gegenüber dem Vorjahreszeitraum.⁴

Onkologie – die wichtigsten Highlights

- Im Dezember 2021 genehmigte die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA (Food and Drug Administration) den Antrag auf Beginn klinischer Studien (Investigational New Drug Application, IND) mit dem neuartigen TTK/PLK1-Kinase-Inhibitor BAL0891. Der Medikamentenkandidat ist der erste Vertreter einer neuen Therapiekategorie von Mitose-Checkpoint-Inhibitoren (MCI). BAL0891 induziert eine fehlerhafte Zellteilung, was zum Absterben von Tumorzellen führt. Für das erste Quartal 2022 ist der Start einer Phase-1-Studie bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren geplant.
- Im September 2021 wurden die vollständigen Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit von Kohorte 1 der Phase-2-Studie FIDES-01 auf dem ESMO-Kongress präsentiert. In dieser

Kohorte wurde Derazantinib bei Patienten mit FGFR2-Fusions-positivem intrahepatischem Cholangiokarzinom (iCCA) untersucht.⁵ Die Daten bestätigten die Wirksamkeit von Derazantinib und unterstützten dessen Differenzierung gegenüber anderen FGFR-Inhibitoren im Hinblick auf Sicherheit und Verträglichkeit bei der Behandlung von iCCA. Erste Topline-Ergebnisse für diese Kohorte waren im Februar 2021 vorgestellt worden.

- Im Juli 2021 erteilte die US-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) Lisavanbulin den Orphan-Drug-Status für die Behandlung von malignen Gliomen, was auch das Glioblastom umfasst. Der Orphan-Drug-Status bietet dem Entwickler eines Medikaments verschiedene Vorteile, einschliesslich einer längeren regulatorischen Marktexklusivität.
- Im März 2021 wurden positive Interim-Ergebnisse für die Kohorte 2 der FIDES-01-Studie veröffentlicht. In dieser Kohorte wird Derazantinib als Monotherapie bei iCCA-Patienten mit Mutationen oder Amplifikationen des FGFR2-Gens untersucht.
- Im Februar 2021 wurden auf dem ASCO-Symposium für urogenitale Krebserkrankungen Daten zur Sicherheit und Verträglichkeit sowie vorläufige Signale zur Wirksamkeit von Derazantinib in Kombination mit dem PD-L1-Checkpoint-Inhibitor Atezolizumab bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren aus der Phase-1b-Dosisfindungskohorte der FIDES-02-Studie präsentiert. Die Derazantinib-Atezolizumab-Kombination war gut verträglich und es wurden keine dosislimitierenden Nebenwirkungen beobachtet.

Im Laufe des Jahres 2022 werden zahlreiche Datenpunkte erwartet, die die Richtung für die weitere Entwicklung für Basileas Wirkstoffkandidaten in der Onkologie bestimmen werden.

Topline-Ergebnisse für Derazantinib zur Behandlung von Patienten mit Gallengangkrebs (iCCA) und anderen Aberrationen der FGFR2-Gene als Fusionen aus der FIDES-01-Studie werden im ersten Halbjahr 2022 erwartet. Ebenfalls im ersten Halbjahr 2022 erwartet Basilea initiale Ergebnisse aus den laufenden Studien FIDES-02 (Blasenkrebs) und FIDES-03 (Magenkrebs).^{6, 7}

Interim-Ergebnisse der laufenden Phase-2-Studie mit Lisavanbulin bei Patienten mit EB1-positivem Glioblastom werden in der ersten Jahreshälfte 2022 erwartet.⁸ EB1 (End-binding Protein 1) war zuvor als potenzieller Biomarker zur Vorhersage des Ansprechens identifiziert worden, wobei bei zwei Patienten mit rezidivierendem EB1-positivem Glioblastom, die seit dem Phase-1-Teil der Studie an dem Programm teilnahmen, ein lang anhaltender klinischer Nutzen beobachtet wurde.

In der zweiten laufenden Studie mit Lisavanbulin, die in den USA in Zusammenarbeit mit der dem Adult Brain Tumor Consortium (ABTC) durchgeführt wird, wird die Kombination mit Strahlentherapie bei Patienten mit neu diagnostiziertem Glioblastom untersucht.⁹ Die maximal

verträgliche Dosis für die Kombination wurde noch nicht erreicht, so dass die Dosis-Eskalation, basierend auf dem bisher beobachteten Verträglichkeits- und Sicherheitsprofil, weiter fortgesetzt wird. Basilea geht nun davon aus, dass die empfohlene Phase-2-Dosis für diese Patientengruppe im ersten Halbjahr 2022 festgelegt werden kann.

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 mehrere präklinische 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.

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 unbekannt 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. Derazantinib und Lisavanbulin und deren Einsatz dienen der Forschung und sind nicht von einer Zulassungsbehörde für irgendeine Anwendung zugelassen worden. Wirksamkeit und Sicherheit sind bislang nicht belegt. Die aufgeführten Informationen sind nicht als Anwendungsempfehlung zu verstehen. Die Relevanz von Erkenntnissen aus nicht-klinischen/präklinischen Studien für den Menschen wird derzeit untersucht.

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
investor_relations@basilea.com

Diese Pressemitteilung ist unter www.basilea.com abrufbar.

Quellenangaben

1. Basilea hat Derazantinib von ArQule Inc. lizenziert, einer hundertprozentigen Tochtergesellschaft von Merck & Co., Inc., Kenilworth, N.J., USA.
2. ERADICATE-Studie: [Clinicaltrials.gov Identifier NCT03138733](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03138733)
K. Hamed, M. Engelhardt, M. E. Jones et al. Ceftribiprole versus daptomycin in *Staphylococcus aureus* bacteremia: a novel protocol for a double-blind, Phase III trial. *Future Microbiology*. 2020 (1), 35-48
3. Isavuconazol Phase-3-Studie, von Asahi Kasei Pharma durchgeführt: [Clinicaltrials.gov Identifier NCT03471988](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03471988)
4. IQVIA, September 2021. Angabe als gleitende, kumulierte «In-Market»-Umsätze der letzten zwölf Monate in US-Dollar.
5. FIDES-01-Studie: [Clinicaltrials.gov Identifier NCT03230318](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03230318)
6. FIDES-02-Studie: [Clinicaltrials.gov Identifier NCT04045613](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04045613)
7. FIDES-03-Studie: [ClinicalTrials.gov Identifier NCT04604132](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04604132)
8. Biomarker-basierte Phase-2-Studie mit Lisavanbulin: [ClinicalTrials.gov Identifier NCT02490800](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02490800)
9. Lisavanbulin Phase-1-Studie, durchgeführt in Zusammenarbeit mit dem ABTC: [ClinicalTrials.gov Identifier NCT03250299](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03250299)