

VAXIMM erhält Orphan Designation in der Europäischen Union und den USA für die orale T-Zell-Immuntherapie VXM01 zur Behandlung des Glioms

Basel (Schweiz) und Mannheim (Deutschland), 13. September 2017 – Die VAXIMM AG, ein schweizerisch/deutsches Biotechnologieunternehmen, das auf die Entwicklung oraler T-Zell-Immuntherapien spezialisiert ist, gab heute bekannt, dass der Hauptproduktkandidat des Unternehmens, VXM01, von der Europäischen Kommission und der Behörde für Lebens- und Arzneimittel der Vereinigten Staaten (Food and Drug Administration, FDA) die Orphan Designation (Arzneimittel für seltene Leiden) für die Behandlung von Gliomen, einer schwierig zu behandelnden Form des Gehirntumors, erhalten hat. Die Orphan Designation soll die Entwicklung von Medikamenten für seltene Krankheiten und Beschwerden fördern und Unternehmen mit bestimmten Anreizen ausstatten, einschließlich Marktexklusivität nach der Zulassung sowie Ermäßigungen für oder Befreiung von Zulassungsgebühren. Die Designation der Europäischen Kommission wurde für die Behandlung von Gliomen, die der US-amerikanischen FDA für die Behandlung von malignen Gliomen erteilt.

„Wir sind sehr zufrieden mit der Erteilung der Orphan Designation durch die Europäische Kommission und die US-amerikanische FDA. Das sind wichtige Meilensteine in der Entwicklung von VXM01 zur Behandlung von Gehirntumoren, eine schwierig zu behandelnde Krebsindikation“, sagte Dr. Matthias Schroff, Chief Executive Officer von VAXIMM. „Wir haben in einer Phase-I-Studie mit VXM01 überzeugende erste Ergebnisse bei Patienten mit rezidiviertem Glioblastom gesehen. Darüber hinaus haben wir im Mai mit der Merck KGaA und Pfizer eine Kollaboration vereinbart, um die Kombination von VXM01 mit Avelumab zur Behandlung von Glioblastom und Darmkrebs im Rahmen von klinischen Phase-I/II-Studien zu untersuchen. Wir freuen uns auf die weitere Entwicklung unserer neuen Immuntherapie zur Behandlung dieser verheerenden Tumorformen.“

Phase-I-Ergebnisse im Glioblastom, eine Art des Glioms, wurden auf der Jahrestagung der American Society of Clinical Oncology (ASCO) am 5. Juni 2017 präsentiert. Die Studie wurde durchgeführt, um sowohl Sicherheit und Verträglichkeit als auch das klinische Ansprechen und die Immun-Antwort auf VXM01 bei Patienten mit rezidiviertem Glioblastom zu untersuchen. Bei diesen Patienten war die Krankheit nach der Behandlung mit Strahlentherapie in Kombination mit dem Chemotherapeutikum Temozolomid, dem Therapiestandard, weiter fortgeschritten. Die publizierten Daten schließen acht Patienten ein, denen an den Tagen 1, 3, 5 und 7 vor der geplanten Operation am 35. Tag je eine Einzeldosis VXM01 verabreicht wurde. Nach der Operation konnten die Patienten im Weiterbehandlungszeitraum alle 4 Wochen eine Einmal-Dosis erhalten. Im Mittel wurden sieben Impfungen verabreicht.

Von den behandelten Patienten wurden sieben operiert. Ein Patient zeigte eine objektive und dauerhafte Tumorantwort und drei weitere Patienten eine stabile Erkrankung. Zusätzlich wurde die periphere Immunantwort untersucht. Bei fünf von sieben Patienten stiegen nach der Re-Operation die CD8+ T-Zellen im Tumorgewebe im Vergleich zum primären Tumorgewebe an. Vier von acht Patienten zeigten eine spezifische T-Zell-Antwort. Zusätzlich konnte nach der Impfung bei vier Patienten ein Anstieg des zerebralen Blutvolumens und des

apparenten Diffusionskoeffizienten im MRI nachgewiesen werden. VXM01 wurde gut vertragen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur (European Medicines Agency, EMA) prüft die Anträge auf Orphan Designation in der Europäischen Union und erleichtert die Entwicklung und Zulassung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten. Die Bewilligung für Orphan Designation wird von der Europäischen Kommission erteilt und beinhaltet den Zugang zu einem zentralisierten Zulassungsverfahren für das Inverkehrbringen von Arzneimitteln in der Europäischen Union sowie einen zehnjährigen Schutz vor Marktwettbewerb mit ähnlichen Arzneimitteln in ähnlichen Indikationen und Gebührenermäßigungen für regulatorische Maßnahmen.

In den Vereinigten Staaten bietet die Orphan Drug Designation dem Entwickler des Medikamentes verschiedene Anreize, einschließlich Steuergutschriften für qualifizierte klinische Untersuchungen, Erlass von Zulassungsgebühren und unter Umständen bis zu sieben Jahre Marktexklusivität für die angegebene Indikation im Falle einer Zulassung.

Über Glioblastom:

Gliome, einschließlich Glioblastome, sind potentiell tödliche Formen des Gehirntumors. Die Behandlung des Glioblastoms kann sehr schwierig sein, weil die Tumore aus vielen unterschiedlichen Zelltypen bestehen. Jüngsten Statistiken zufolge werden in Europa (EU-27) mehr als 42.000 Fälle mit Tumoren des Gehirns und Nervensystems und über 32.000 Todesfälle geschätztⁱ. In den USA schätzt man 21.000 Erkrankungen und 15.000 Todesfälleⁱⁱ. Bestrahlung und Chemotherapie können dazu eingesetzt werden, das Wachstum von Glioblastoma zu verlangsamen, die nicht durch eine Operation entfernt werden könnenⁱⁱⁱ. Der American Association of Neurological Surgeons zufolge sterben Patienten dennoch typischerweise in den ersten 15 Monaten nach der Diagnose^{iv}. Daher besteht ein dringender Bedarf für effektivere Therapieoptionen.

Über VXM01:

VXM01 ist eine orale T-Zell-Immuntherapie, die dazu entwickelt wurde, T-Zellen zu aktivieren, die die Tumolvaskulatur angreifen und bei verschiedenen Tumorarten die Krebszellen direkt attackieren. Sie basiert auf einem abgeschwächten, sicheren, oral verabreichten bakteriellen Impfstamm, der so modifiziert wurde, dass er den Vascular Endothelial Growth Factor Receptor-2 (VEGFR2) als Zielgen trägt. VXM01 stimuliert das Immunsystem des Patienten zur Aktivierung VEGFR2-spezifischer, zytotoxischer T-Zellen (so genannter Killer-Zellen). Diese Killer-Zellen wiederum zerstören aktiv die Zellen des Tumor-Gefäßsystems, was zur verstärkten Infiltration verschiedener Immunzellen in den Tumor führt. In präklinischen Studien zeigte ein Maus-analoger VXM01 Impfstoff breite Anti-Tumoraktivität bei unterschiedlichen Tumorarten. Diese Aktivität war mit einer VEGFR-2-spezifischen T-Zell-Antwort verbunden und korrelierte mit der Zerstörung des Tumor-Gefäßsystems und einer erhöhten Immunzellinfiltration. Eine doppelt-verblindete, randomisierte, Placebo-

kontrollierte Phase-I-Studie mit 71 Patienten mit fortgeschrittenem Bauchspeicheldrüsenkrebs bestätigte gute Sicherheit und Verträglichkeit von VXM01 und demonstrierte außerdem eine Aktivierung von VEGFR-2-spezifischen, zytotoxischen T-Zellen, was mit einer signifikant verbesserten Überlebensrate einherging. VXM01 wird auch in der Indikation Dickdarmkrebs und Glioblastom untersucht.

Über VAXIMM:

Die VAXIMM AG ist ein privates, schweizerisch/deutsches Biotechnologie-Unternehmen, das orale T-Zell-Vakzine als aktive Immuntherapien für Krebspatienten entwickelt. VAXIMMs Impfstoff-Plattform basiert auf abgeschwächten, sicheren und oral verabreichten Bakterien, die modifiziert zur Stimulation der patienteneigenen zytotoxischen T-Zellen eingesetzt werden, um tumor-spezifische Strukturen gezielt anzugreifen. Der am weitesten fortgeschrittene Produktkandidat VXM01 aktiviert Killerzellen, die sich gegen das tumor-spezifische Gefäßsystem und bestimmte, die Immunantwort unterdrückende Zellen richten, und erhöht damit die Infiltration von Immunzellen in soliden Tumoren. VXM01 befindet sich in der klinischen Entwicklung für die Behandlung verschiedener Tumorarten, wie Bauchspeicheldrüsenkrebs, Darmkrebs und Hirntumoren. Zur Pipeline von VAXIMM gehören weitere ergänzende Produktkandidaten, die sich auf verschiedene Tumorstrukturen richten. Zu den Investoren von VAXIMM gehören BB Biotech Ventures, Merck Ventures, Sunstone Capital und BioMed Partners. Die VAXIMM AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz. Die hundertprozentige Tochtergesellschaft VAXIMM GmbH mit Sitz in Mannheim ist für die operative Durchführung der Entwicklung verantwortlich. Für weitere Information besuchen Sie bitte: www.vaximm.com.

Kontakt:

VAXIMM AG
Dr. Matthias Schroff (CEO)
Tel.: +49 621 8359 687 0
E-Mail: info@vaximm.com

Medienanfragen:

MC Services AG
Katja Arnold
Tel: +49 89 210228 0
E-Mail: vaximm@mc-services.eu

ⁱ Quelle: EUCAN cancer fact sheets, <http://eco.iarc.fr/eucan>

ⁱⁱ Quelle: World Health Organization, IARC, Cancer Today, <http://gco.iarc.fr/today>

ⁱⁱⁱ Quelle: American Brain Tumor Assn, abta.org

^{iv} Quelle: American Association of Neurological Surgeons (AANS), www.aans.org