

Ferring und Blackstone Life Sciences investieren über 570 Millionen US-Dollar in eine neuartige Gentherapie für Blasenkrebspatienten.

- *Ferring gründet das neue Unternehmen FerGene, mit einem Schwerpunkt in der globalen Entwicklung und Vermarktung von Nadofaragene firadenovec in den USA, für Patienten mit hochgradigem, nicht auf Bacillus Calmette-Guérin ansprechendem, nicht-muskelinvasivem Blasenkrebs.*
- *Blackstone Life Sciences wird 400 Millionen US-Dollar und Fachwissen investieren, um die künftige Entwicklung und Vermarktung von Nadofaragene firadenovec, einer Gentherapie für die Forschung, zu beschleunigen.*
- *Die FDA hat die Biologics License Application (BLA) zur Bearbeitung angenommen und eine Priority Review für Nadofaragene firadenovec zugesichert.*
- *Ergebnisse der Phase III werden auf der 20. Jahrestagung der Society of Urologic Oncology (SUO) in Washington DC am 5. Dezember 2019 vorgestellt.*

Saint-Prex, Schweiz und Cambridge, Massachusetts, USA - 25. November 2019 - Ferring Pharmaceuticals und Blackstone Life Sciences gaben heute die gemeinsame Investition von über 570 Millionen US-Dollar in Nadofaragene firadenovec (rAd-IFN/Syn3) bekannt, eine neuartige Gentherapie in der späten Entwicklungsphase für Patienten mit hochgradigem, nicht auf Bacillus Calmette-Guérin (BCG) ansprechendem, nicht-muskelinvasivem Blasenkrebs (NMIBC).

FerGene, ein neues Gentherapieunternehmen und Tochtergesellschaft von Ferring, wurde gegründet, um Nadofaragene firadenovec in den USA potenziell zu vermarkten und die globale klinische Entwicklung voranzutreiben. Ziel von FerGene ist es, diese vielversprechende Therapie einer Patientenpopulation zugänglich zu machen, die in den letzten zwanzig Jahren kaum eine Verbesserung ihres Versorgungsstandards erfahren hat. Blackstone wird 400 Millionen US-Dollar investieren und Ferring 170 Millionen US-Dollar in FerGene. Ferring wird gegebenenfalls Nadofaragene firadenovec auch ausserhalb der USA einführen und vermarkten.

"Die Markteinführung einer neuartigen Gentherapie erfordert einen engagierten Fokus und sehr ausgeprägte Fähigkeiten, und FerGene, ein Ferring-Unternehmen, verfügt über die Ressourcen und das Team, um uns zu helfen, Nadofaragene firadenovec wenn möglich bei Patienten einzuführen", sagte Frederik Paulsen, Vorsitzender von Ferring Pharmaceuticals. "Durch dieses neue gemeinsame Finanzierungsmodell von Ferring und Blackstone Life Sciences wollen wir sicherstellen, dass mehr Menschen mit hochgradigem, nicht auf BGC-ansprechendem, nicht-muskelinvasivem Blasenkrebs von dieser neuartigen Gentherapie profitieren können, sofern sie zugelassen wird."

Nadofaragene firadenovec, welches sich derzeit in der fortgeschrittenen Phase III der Entwicklung befindet, wurde von der FDA als Durchbruchstherapie eingestuft. Die Biologics License Application (BLA) wurde zur Bearbeitung angenommen, was eine priorisierte Prüfung garantiert.

"Diese innovative Partnerschaft mit Ferring verdeutlicht den einzigartigen Wert von Blackstone Life Sciences bei der Markteinführung transformativer Therapien. Unsere Expertise und Erfahrung in der praktischen klinischen Entwicklung und frühen Kommerzialisierung wird dazu beitragen, diese vielversprechende Therapie für Blasenkrebspatienten in den USA und auf der ganzen Welt weiter voranzutreiben", sagte Dr. Nick Galakatos, Head of Blackstone Life Sciences.

"FerGene, Blackstone und Ferring verfolgen das Ziel, rekombinantes adenoviral vermittelte Interferon alfa-2b-Gentherapie, eine potenziell bahnbrechende Behandlung für hochgradige, nicht auf BCG ansprechende, nicht-muskelinvasive Blasenkrebspatienten, erfolgreich zu vermarkten und weiterzuentwickeln", sagte Paris Panayiotopoulos, Blackstone Life Sciences Managing Director.

Die Ergebnisse der klinischen Studien der Phase III werden auf der 20. Jahrestagung der Society of Urologic Oncology (SUO) in Washington, DC am 5. Dezember 2019 von Dr. Colin Dinney, Professor und Vorsitzender der Abteilung für Urologie an der University of Texas MD Anderson Cancer Center (MDACC), Gründer und ehemaliger Präsident des Society of Urologic Oncology Clinical Trials Consortium (SUO-CTC) vorgestellt. Dr. Dinney war Pionier bei der Entwicklung von Nadofaragene firadenovec und leitet gemeinsam mit Dr. Nigel Parker⁶ von FKD Therapies Oy (FKD) das Entwicklungsprogramm. Nach der möglichen FDA-Zulassung wird FerGene die Vermarktungszulassung für Nadofaragene firadenovec erhalten.

FKD ist ein spezialisiertes Gentherapieunternehmen mit Sitz in Finnland, das sich auf die Entwicklung und Zulassung von Nadofaragene firadenovec konzentriert, welches in der Phase-III-Studie in 33 Zentren in den USA in Zusammenarbeit mit dem SUO-CTC untersucht wurde.

"Wir freuen uns, die Phase-III-Daten auf dem bevorstehenden SUO-Meeting präsentieren zu können", sagte Dr. Stephen A. Boorjian, der koordinierende Prüfarzt für die Studie und Carl Rosen, Professor für Urologie an der Mayo Clinic in Rochester, Minnesota. *"Diese Studie erweitert die Suche nach effektiven Alternativen zur radikalen Zystektomie für Patienten mit hochgradigem, nicht ansprechbarem, nicht-muskelinvasivem Blasenkrebs und bietet das Potenzial, die zukünftige Patientenversorgung deutlich zu verbessern."*

Über Nadofaragene firadenovec

Nadofaragene firadenovec (rAd-IFN/Syn3) ist eine experimentelle Therapie, die als Behandlung für Patienten mit hochgradigem, nicht auf BCG-ansprechendem NMIBC entwickelt wird. Es handelt sich um eine vektorbasierte Gentherapie mit dem Gen Interferon alfa-2b, die alle drei Monate per Katheter in die Blase verabreicht wird. Das Virus tritt in die Zellen der Blasenwand ein, wo es zerfällt und das aktive Gen freisetzt, um seine Arbeit zu verrichten. Die interne Gen/DNA-Maschinerie der Zellen nimmt das Gen sozusagen auf und übersetzt seine DNA-Sequenz, was dazu führt, dass die Zellen hohe Mengen an Interferon alfa-2b-Protein absondern, ein natürlich vorkommendes Protein, das der Körper zur Krebsbekämpfung verwendet. Dieser neuartige gentherapeutische Ansatz verwandelt dabei die patienteneigenen Blasenwandzellen in diverse Interferon-Mikrofactoren und stärkt die körpereigene Abwehr gegen den Krebs.

Über Blasenkrebs

Blasenkrebs ist eine der am häufigsten auftretenden Krebsarten, mit schätzungsweise 430.000 diagnostizierten Patienten weltweit pro Jahr, was ihn zum neunthäufigsten Krebs weltweit macht.^{1,2} In den USA ist Blasenkrebs der sechsthäufigste Krebs, wobei schätzungsweise 699.450 Menschen mit Blasenkrebs leben und allein in den USA jedes Jahr mehr als 80.000 neue Fälle diagnostiziert werden.³ Bei hochgradigen NMIBC-Patienten ist BCG die Standardbehandlung, und obwohl sie

wirksam ist, treten über 60% dieser Tumore schliesslich wieder auf.^{2,4} Die radikale Zystektomie (vollständige Entfernung der Blase und bestimmter Fortpflanzungsorgane) zur Verhinderung der Ausbreitung von Krebs auf andere Organe stellt in diesem Zusammenhang die empfohlene Behandlungsoption dar, kann aber mit einer erheblichen Morbidität verbunden sein.⁵ Als solche ist die nicht auf BCG ansprechende Population eine mit hohem unerfülltem klinischem Bedarf, der durch die FDA Guidance for Industry, Februar 2018, anerkannt wurde.⁷

Über Blackstone Life Sciences

Blackstone Life Sciences ist eine private Investitionsplattform mit der Möglichkeit, über den gesamten Lebenszyklus von Unternehmen und Produkten in den wichtigsten Life-Science-Bereichen zu investieren. Durch die Kombination von umfangreichen Investitionen und praktischer operativer Führung trägt Blackstone Life Sciences dazu bei, vielversprechende neue Medikamente auf den Markt zu bringen, die das Leben der Patienten verbessern. Mit der Einführung dieser neuen Plattform übernahm Blackstone Clarus, ein weltweit führendes Life-Science-Unternehmen.

Über Ferring Pharmaceuticals

Ferring Pharmaceuticals ist ein forschungsorientiertes, auf Biopharmazeutika spezialisiertes Unternehmen, das sich der Unterstützung von Menschen auf der ganzen Welt bei der Familiengründung und für ein besseres Leben verschrieben hat. Ferring mit Hauptsitz in Saint-Prex, Schweiz, ist führend in den Bereichen Reproduktionsmedizin und Müttergesundheit sowie in Spezialgebieten der Gastroenterologie und Urologie. Ferring wurde 1950 gegründet und beschäftigt heute weltweit rund 6.500 Mitarbeiter, verfügt über eigene operative Tochtergesellschaften in fast 60 Ländern und vertreibt seine Produkte in 110 Ländern.

Erfahren Sie mehr unter www.ferring.com, oder kontaktieren Sie uns auf [Twitter](#), [Facebook](#), [Instagram](#), [LinkedIn](#) und [YouTube](#).

Über FKD Therapies Oy

FKD Therapies Oy ist ein spezialisiertes Gentherapieunternehmen mit Sitz in Kuopio, Finnland, das ursprünglich von den wissenschaftlichen und medizinischen Gründern Dr. Nigel R. Parker und Prof. Seppo Ylä-Herttua⁶ konzipiert wurde, mit dem spezifischen Ziel die Entwicklung von Adenovirus-vermitteltem Interferon alfa-2b zu ermöglichen. FKD hat die Gesamtentwicklung von Nadofaragene firadenovec durch die Herstellung bei FinVector Oy, klinische Studien im späten Stadium und die aktuelle BLA-Zulassung geleitet. FinVector Oy und FKD Oy sind Teil der Trizell-Gruppe.

Über das SUO-CTC

Die Society of Urologic Oncology (SUO) hat 2008 ein Netzwerk für klinische Studien aufgebaut. Das Society of Urological Oncology Clinical Trials Consortium (SUO-CTC) ist ein Netzwerk von über 340 Mitgliedern an mehr als 180 klinischen Standorten in den USA und Kanada. Diese nationale Allianz führender akademischer und gemeindebasierter Uro-Onkologen setzt sich für die Förderung der Urologieforschung ein. Die SUO-CTC ist eine eingetragene 501c3 Non-Profit-Organisation und unterhält eine kooperative Beziehung zur Society of Urologic Oncology. SUO-CTC führt in Zusammenarbeit mit Sponsoren klinische Studien durch, um therapeutische Interventionen zu untersuchen, die sich mit urologischen Krebsarten befassen, einschliesslich, aber nicht beschränkt auf Blasenkrebs, Prostatakrebs und Nierenkrebs. Gemeinsam mit der Industrie bietet das SUO-CTC erweiterte Forschungsmöglichkeiten, um unseren Patienten letztlich mehr Lebensqualität zu bieten.

###

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Bhavin Vaid

Head of Corporate Communications and Public Affairs, Ferring Pharmaceuticals

+41 58 301 0952 (Direktwahl)

+41 79 191 0632 (Mobil)

bhavin.vaid@ferring.com

Jennifer Friedman

Senior Vice President – Global Public Affairs, Blackstone

+1 (212) 583-5122

Jennifer.Friedman@blackstone.com

Referenzen

¹ Antoni, S et al. Bladder Cancer Incidence and Mortality: A Global Overview and Recent Trends. *Eur Urol.* 2017;17(1):96–108.

² Maruf, M et al. Non invasive bladder cancer: a primer on immunotherapy. *Cancer Biol Med.* 2016;13(2):194-205.

³ National Cancer Institute. Cancer Stat Facts: Bladder Cancer. Available at: <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/urinb.html>. Last accessed: 13 November 2019.

⁴ Derré, L et al. Intravesical Bacillus Calmette Guerin Combined with a Cancer Vaccine Increases Local T-Cell Responses in Non-muscle-Invasive Bladder Cancer Patients. *Clin Cancer Res.* 2017;23(3):717-725.

⁵ Cookson, M *et al.*, Use of intravesical valrubicin in clinical practice for treatment of nonmuscle-invasive bladder cancer, including carcinoma in situ of the bladder. *Therapeutic Advances in Urology.* 2014, Vol. 5(5):181-191.

⁶ AIV Institute for Molecular Sciences, Kuopio, Finland.

⁷ Food and Drug Administration. BCG-Unresponsive Nonmuscle Invasive Bladder Cancer: Developing Drugs and Biologics for Treatment Guidance for Industry. Available at: <https://www.fda.gov/media/101468/download>. Last accessed: November 2019.