

Molecure S.A. meldet ersten Patienten in der OATD-01 Phase 2 KITE-Studie bei Lungensarkoidose

Am 22. März 2024 um 09:00 Uhr

Molecure S.A. hat mit der klinischen Studie begonnen, in der OATD-01 Patienten mit aktiver Lungensarkoidose im Rahmen einer klinischen Studie der Phase II (Proof-of-Concept am Menschen) verabreicht wird. Die weltweit erste Verabreichung des Chitotriosidase 1 (CHIT1)-Inhibitors (oder eines Placebos) an einen Patienten fand im Royal Infirmary in Edinburgh statt. Im Rahmen der Studie werden die Patienten 12 Wochen lang täglich eine feste Dosis von 25 mg OATD-01 oder Placebo-Tabletten einnehmen.

Die Sicherheit der Patienten wird regelmäßig durch Labortests, neurologische Untersuchungen sowie EKG und Spirometrie überwacht. Die klinische Phase-II-Studie für OATD-01 ist als randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte, multizentrische Studie konzipiert, um die Sicherheit und Wirksamkeit des oralen CHIT1-Inhibitors (OATD-01) bei etwa 100 Patienten mit aktiver pulmonaler Sarkoidose zu untersuchen, darunter auch Patienten, die zuvor andere Therapien erhalten haben oder zuvor unbehandelt waren. An der Studie werden etwa 20-30 Zentren in den USA, der Europäischen Union, Norwegen und Großbritannien beteiligt sein.

Die renommierte CRO (Contract Research Organisation) Simbec Orion ist für die Organisation und umfassende Durchführung der Studie verantwortlich. Da die Studie eine doppelte Verblindung erfordert, wird die Veröffentlichung der endgültigen, unverblindeten Ergebnisse erst nach Abschluss der Studie erfolgen und wird für Ende 2025 erwartet. Für die Wirksamkeitsstudie wurde mit der FDA ein innovativer primärer Endpunkt vereinbart, nämlich das Ansprechen auf die 12-wöchige Verabreichung von OATD-01, gemessen am Grad des Rückgangs der granulomatösen Entzündung im Lungenparenchym, der mittels PET/CT-Bildgebung ermittelt wird.

Nachdem etwa 50 Patienten ihre Teilnahme an der Studie abgeschlossen haben, wird eine Subanalyse (Zwischenkontrolle) angesetzt, um die Ergebnisse durch ein unabhängiges Komitee statistisch auszuwerten und zu entscheiden, wie die Studie in Bezug auf die Anzahl der Patienten fortgesetzt werden soll.

Der erste Patient in Großbritannien wird in der OATD-01 Phase 2 KITE-Studie bei Lungensarkoidose dosiert

Veröffentlicht: Mar 22, 2024

- *OATD-01 ist ein innovativer Chitinase-Hemmer der ersten Klasse zur Behandlung von Sarkoidose unter anderen Krankheiten, bei denen chronische Entzündungen zu Gewebeumbau und Fibrose führen*
- *In der klinischen Phase-II-Studie (KITE-Studie) nehmen die Patienten eine tägliche orale Dosis von 25 mg OATD-01 oder Placebo (intablett Form) für 12 Wochen*
- *Die doppelblinde, randomisierte, placebokontrollierte Studie wurde entwickelt, um die klinische Wirksamkeit, Pharmakokinetik, Pharmakodynamik und Sicherheit von OATD-01 zu ermitteln*
- *Die Phase-II-Studie wird in Großbritannien, den USA und der Europäischen Union einschließlich Norwegen durchgeführt und wird etwa 100 Patienten umfassen.*
- *OATD-01 ist ein erste Klasse Chitotriosidase 1 (CHIT1) Hemmstoff mit krankheitsmodifizierendem Potenzial bei Sarkoidose und anderen interstitiellen Lungenerkrankungen*

Warschau, 22. März 2024. - Molecure S.A. ("Molecure", WSE-Ticker: MOC), ein Biotechnologieunternehmen, das Arzneimittel entdeckt und bis zur klinischen Phase entwickelt und sein weltweit einzigartiges Fachwissen in der medizinischen Chemie und Biologie nutzt, um erstklassige niedermolekulare Arzneimittel zu erforschen und zu entwickeln, die die Proteinaktivität und die mRNA-Translation direkt modulieren, um eine Reihe unheilbarer Krankheiten zu behandeln, hat mit der klinischen Studie begonnen, bei der OATD-01 Patienten mit aktiver Lungensarkoidose im Rahmen einer klinischen Studie der Phase II (Proof-of-Concept am Menschen) verabreicht wird. Die weltweit erste Verabreichung des Chitotriosidase 1 (CHIT1)-Inhibitors (oder eines Placebos) an einen Patienten fand im Royal Infirmary in Edinburgh statt. Im Rahmen der Studie werden die Patienten 12 Wochen lang täglich eine feste Dosis von 25 mg OATD-01 oder Placebo-Tabletten einnehmen. Die Sicherheit der Patienten wird regelmäßig durch Labortests, neurologische Untersuchungen sowie EKG und Spirometrie überwacht.

Die klinische Phase-II-Studie für OATD-01 ist als randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte, multizentrische Studie konzipiert, um die Sicherheit und Wirksamkeit des oralen CHIT1-Hemmers (OATD-01) bei etwa 100 Patienten mit aktiver pulmonaler Sarkoidose zu untersuchen, darunter auch Patienten, die zuvor andere Therapien erhalten haben oder zuvor unbehandelt waren. An der Studie werden etwa 20-30 Zentren in den USA, der Europäischen Union, Norwegen und dem Vereinigten Königreich beteiligt sein. Die renommierte CRO (Contract Research Organisation) Simbec Orion ist für die Organisation und umfassende Durchführung der Studie verantwortlich.

"Die erste Verabreichung an einen Patienten mit Lungensarkoidose ist die Verwirklichung unserer Mission, die darauf ausgerichtet ist, das Leben von Patienten mit unheilbaren Krankheiten durch die Entwicklung von Therapien und die Möglichkeit, ihnen neue Behandlungsoptionen anzubieten, zu verbessern und zu verändern. Die in Großbritannien gestartete Phase-II-Studie mit Patienten mit aktiver Erkrankung, die Phase des "Proof-of-Concept am Menschen", ist ein wichtiger Meilenstein in der klinischen Entwicklung unseres Hauptprogramms. Es ist auch deshalb ein Meilenstein, weil es das erste Mal ist, dass ein Chitotriosidase-1-Inhibitor Patienten angeboten wird. Molecure ist ein Pionier und weltweit führend in der Entwicklung von Therapien, die auf der Hemmung der Chitinase-Aktivität basieren. Die 'PoC in human'-Studie ist der Schlüssel zur Validierung dieses therapeutischen Ansatzes, da es ein ganzes Spektrum von Krankheiten gibt, deren Entwicklung mit ähnlichen molekularen Mechanismen verbunden ist. Wir werden die Studie in den Vereinigten Staaten, im Vereinigten Königreich, in Norwegen und in Ländern der Europäischen Union durchführen, nachdem wir die Genehmigungen der zuständigen EU-Behörden erhalten haben. Die Ergebnisse dieser Studie werden für die weitere Wertschöpfung und Vermarktung von OATD-01 von strategischer Bedeutung sein, und

wir freuen uns auf die Ergebnisse der Studie im Jahr 2025" - sagte Dr. Marcin Szumowski, Chief Executive Officer und Vorstandsvorsitzender von Molecure S.A.

Da die Studie eine doppelte Verblindung erfordert, wird die Veröffentlichung der endgültigen, unverblindeten Ergebnisse erst nach Abschluss der Studie erfolgen und wird für Ende 2025 erwartet. Für die Wirksamkeitsstudie wurde mit der FDA ein innovativer primärer Endpunkt vereinbart, nämlich das Ansprechen auf die 12-wöchige Verabreichung von OATD-01, gemessen am Grad des Rückgangs der granulomatösen Entzündung im Lungenparenchym, der mittels PET/CT-Bildgebung ermittelt wird. Nachdem etwa 50 Patienten ihre Teilnahme an der Studie abgeschlossen haben, wird eine Subanalyse (Zwischenkontrolle) angesetzt, um die Ergebnisse durch ein unabhängiges Komitee statistisch auszuwerten und zu entscheiden, wie die Studie hinsichtlich der Anzahl der Patienten fortgesetzt werden soll.

"Wir sind sehr stolz auf die erste Patientenverabreichung in der KITE-Studie. In einem breiten Spektrum präklinischer Studien haben wir das große Potenzial von OATD-01 bestätigt, zum neuen Standard in der Behandlung der pulmonalen Sarkoidose zu werden. In klinischen Studien der Phase 1 mit 129 gesunden Freiwilligen haben wir wiederum das gute Sicherheitsprofil von OATD-01 und die Fähigkeit des Wirkstoffs, Chitinasen wirksam zu blockieren, bestätigt. In einer Phase-2-Studie wollen wir zeigen, dass die Blockierung von Chitinasen bei Patienten eine therapeutische Wirkung hat und Entzündungsprozesse hemmt. Der primäre Endpunkt der Studie ist die Verhinderung oder Umkehrung des Fortschreitens der Krankheit und der Lungenschädigung, die anhand des Granulomatous Inflammation Reduction Score bewertet wird. Die Therapie zielt auch darauf ab, die Krankheitssymptome zu lindern, d.h. eine Verbesserung der Lungenfunktion, gemessen an der Veränderung der so genannten Forced Vital Capacity (FVC), sowie eine Verbesserung der Lebensqualität und eine Abkehr von Kortikosteroiden zu erreichen" - sagte Dr. Samson Fung, Chief Medical Officer und Vorstandsmitglied von Molecure S.A.

Über OATD-01

OATD-01 ist ein einmal täglich oral verabreichter, hochselektiver CHIT1-Inhibitor, der als erster seiner Klasse für die Behandlung von Sarkoidose in Frage kommt. Das Enzym CHIT1 stellt ein vielversprechendes molekulares Ziel dar, da es eine Rolle bei der Umwandlung lokaler entzündungshemmender Makrophagen in pro-inflammatorische und pro-fibrotische Typen spielt. Die Blockierung der CHIT1-Aktivität durch OATD-01 führte nachweislich zu einer entzündungshemmenden und antifibrotischen Wirkung.

Das Molekül OATD-01 hat in verschiedenen Krankheitsmodellen starke entzündungshemmende und antifibrotische Wirkungen gezeigt und besitzt ein hohes therapeutisches Potenzial bei einer Vielzahl von entzündlichen und fibrotischen Krankheiten, die einen ungedeckten medizinischen Bedarf darstellen, wie Sarkoidose, idiopathische Lungenfibrose (IPF) und nichtalkoholische Steatohepatitis (NASH).

Molecure hat von der FDA den Orphan-Drug-Status (ODD) für OATD-01 für die Indikationen Sarkoidose und idiopathische Lungenfibrose erhalten.

Über Sarkoidose

Sarkoidose ist eine Multiorganerkrankung unbekannter Ätiologie, die durch die Bildung granulomatöser Strukturen in verschiedenen Organen, vor allem in der Lunge und im lymphatischen System, gekennzeichnet ist.

Die Sarkoidose ist eine weltweit verbreitete Krankheit, die sowohl Männer als auch Frauen betrifft. Die Inzidenz wird auf 5-50 Fälle pro 100 000 Einwohner geschätzt, wobei 70 % der Patienten zwischen 25 und 45 Jahre alt sind.

Die schwerwiegendste und häufigste Komplikation der Sarkoidose ist die Lungenfibrose (Lungenkrebs). Sie ist in der Regel mit einer erheblichen Beeinträchtigung der Lungenfunktion verbunden. Die Lungenfibrose ist für die Mehrzahl der sarkoidosebedingten Todesfälle in den westlichen Ländern verantwortlich.

Über Molecure S.A.

Molecure S.A. ist ein Biotechnologieunternehmen, das Arzneimittel entdeckt und bis zur klinischen Phase entwickelt. Dabei nutzt es sein eigenes einzigartiges Fachwissen in medizinischer Chemie und Biologie, um nach erstklassigen niedermolekularen Arzneimitteln zu suchen und diese zu entwickeln, die durch direkte Modulation von bisher unerforschten Protein- und RNA-Zielstrukturen Therapien für viele unheilbare Krankheiten bieten könnten.

Molecure hat mit Unterstützung führender akademischer Forschungseinrichtungen auf der ganzen Welt, darunter die Yale University, die Rutgers University, das Flämische Institut für Biotechnologie (VIB) in Gent, die University of Michigan und das Internationale Institut für Molekular- und Zellbiologie in Warschau, Polen (MIBMiK), ein vielfältiges Portfolio von sieben verschiedenen Programmen entwickelt.

Der am weitesten fortgeschrittene Arzneimittelkandidat, der von Molecure entwickelt wurde, ist OATD-01, ein CHIT1-Inhibitor zur Behandlung von interstitiellen Lungenerkrankungen wie Sarkoidose und idiopathischer Lungenfibrose, der für die klinische Prüfung der Phase 2 bereit ist. Die Phase-2-Studie bei Sarkoidose-Patienten begann im vierten Quartal 2023 in den USA und Großbritannien und wird nach Erhalt der entsprechenden behördlichen Genehmigung auch in der EU und Norwegen fortgesetzt.

Der zweite Medikamentenkandidat ist OATD-02, ein oraler, selektiver, erstklassiger dualer Arginaseinhibitor (ARG1 und ARG2) zur Behandlung von Krebs, dessen klinische Phase-I-Studie mit der Verabreichung an den ersten Patienten im ersten Quartal 2023 begonnen hat.

Der Hauptsitz und die Labors von Molecure befinden sich in Warschau und Lodz. Das Unternehmen ist an der Warschauer Börse notiert (Ticker: MOC).

Ausführliche Informationen finden Sie unter: <https://molecure.com/pl/>

Übersetzt mit www.DeepL.com/Translator (kostenlose Version)