Newron schließt Patientenrekrutierung für pivotale STARS-Studie ab

- *Top-Line-Ergebnisse im 4. Quartal 2019 erwartet*
- *Fast alle Patienten setzten Behandlung mit Sarizotan in einer langfristigen Verlängerungs-Studie fort*
- *Positive Studienergebnisse könnten zur Zulassung Sarizotans als erstem Medikament führen, das eines der Hauptsymptome der seltenen und schweren neurologischen Entwicklungsstörung „Rett-Syndrom“ behandelt*

Mailand, Italien und Morristown, New Jersey, USA – 1. Februar 2019 – Newron Pharmaceuticals S.p.A. („Newron”, SIX: NWRN), ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung neuartiger Therapien für Patienten mit Erkrankungen des zentralen und peripheren Nervensystems konzentriert, gab heute den erfolgreichen Abschluss der Rekrutierung von Rett-Syndrom-Patienten für die klinische STARS-Studie („Sarizotan for the Treatment of Apneas in Rett Syndrome”) bekannt. Newron erwartet die Bekanntgabe der Top-Line-Ergebnisse der STARS-Studie im 4. Quartal 2019.

Das Rett-Syndrom ist eine schwere neurologische Entwicklungsstörung und eine seltene Erkrankung („Orphan Disease“), die vor allem Mädchen ab einem sehr jungen Alter betrifft. Diesen Patienten stehen aktuell keine zugelassenen Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung. Derzeit haben sich mehr als 130 Patienten im Alter von vier Jahren und älter für die Aufnahme in die Studie von Newron qualifiziert, die in 14 Studienzentren in den USA, Europa, Asien und Australien durchgeführt wird. An der STARS-Studie nehmen Patienten teil, bei denen im Verlauf der Erkrankung klinisch signifikante Apnoen vorliegen. Apnoen sind ein Hauptmerkmal des Rett-Syndroms, das bei etwa 70 Prozent der Patienten auftritt, wesentlich zu anderen Komorbiditäten beiträgt und zu einer verringerten Lebensqualität führt.

Nur Patienten mit klinisch signifikanten Apnoen, also mindestens 10 Episoden pro Stunde von jeweils mehr als 10 Sekunden im Wachzustand, qualifizierten sich für die Aufnahme in die Studie. Die Apnoen wurden mit einem modernen medizinischen Gerät überwacht und aufgezeichnet, das die objektive Messung der Atmungsstörungen gewährleistet. Diese Aufzeichnungen wurden über einen Zeitraum von 5-6 Stunden pro Tag an 3 Tagen pro Woche durchgeführt, mit der Möglichkeit für Patienten, den Vorgang in den folgenden 3 Wochen zu wiederholen, falls sie sich in der ersten Woche des Screenings nicht qualifizierten. Während der 6-monatigen Studie erhielten die Patienten, die die Einschlusskriterien erfüllten, randomisiert entweder eine Behandlung mit Tagesdosen von 10 oder 20 mg Sarizotan oder Plazebo. Die Aufzeichnung der Atmungsaktivität findet zu vier verschiedenen Zeitpunkten während der 24-wöchigen Doppelblindstudie zu Hause statt. Für die zuletzt eingeschlossenen Patienten dauert die Studie derzeit noch an. Der primäre Endpunkt für die STARS-Studie ist die prozentuale Reduzierung der Episoden der Apnoe während der Wachzeit im Vergleich zum Placebo.

Die Behandlung mit Sarizotan wurde bisher sehr gut vertragen, mit einer sehr geringen Abbruchrate aufgrund von Nebenwirkungen oder mangelnder Wirksamkeit. Von den Patienten, die die 24-wöchige Doppelblind-Phase abgeschlossen haben, setzten rund 90 Prozent ihre Teilnahme an der Studie in der langfristigen Open-Label-Erweiterung fort. Die Sicherheit der Patienten in der Studie wird von einem unabhängigen internationalen Gremium (Safety Monitoring Board) überwacht, das alle Sicherheitsdaten überprüft und empfohlen hat, die Studie ohne jegliche Änderung fortzusetzen.

Am R&D Day der Gesellschaft am 31. Oktober 2018 präsentierte Newron Ausgangswerte von mehr als 100 in die STARS-Studie eingeschlossen Patienten und lieferte damit erstmals eine objektive Messung der Atmungsstörungen im häuslichen Umfeld über einen langen Zeitraum im Wachzustand. Die Daten deuten darauf hin, dass ohne Behandlung bis zu 70 Prozent der Patienten klinisch signifikante Apnoen haben und mindestens 10 Prozent ihrer Zeit ohne Atmen verbringen. Bei diesen unbehandelten Patienten sinkt die Sauerstoffsättigung zwischen 4,2 und 24 Mal pro Stunde unter 90 Prozent und die kumulative Dauer dieses Zustandes kann bis zu 48 Minuten pro Stunde betragen.

Falls die erwarteten klinischen Daten der STARS-Studie positiv ausfallen, könnte dies der Gesellschaft die Einreichung eines Antrags auf Marktzulassung bei den US-amerikanischen, kanadischen und europäischen Zulassungsbehörden ermöglichen. Newron plant weiterhin, Sarizotan in Schlüsselregionen selbst zu vermarkten und arbeitet mit der Rett-Community zusammen, um das Bewusstsein für diese Erkrankung zu stärken.

Über das Rett-Syndrom
Das Rett-Syndrom ist eine schwere neurologische Entwicklungsstörung, von der hauptsächlich Mädchen und Frauen betroffen sind. Die geschätzte Prävalenz liegt bei einer von 10.000 Frauen. Es stehen keine zugelassenen Therapien zur Verfügung. Kennzeichnend für das Rett-Syndrom sind der Verlust erworbener fein- und grobmotorischer Fähigkeiten und die Entwicklung neurologischer, kognitiver und autonomer Funktionsstörungen, die zum Verlust der Fähigkeit zur Ausübung normaler Alltagsaktivitäten sowie der Geh- oder Kommunikationsfähigkeit führen. Das Rett-Syndrom ist außerdem mit einer verminderten Lebenserwartung verbunden. Etwa 25 Prozent der Todesfälle bei Patienten mit Rett-Syndrom stehen möglicherweise mit multiplen kardiorespiratorischen Arrhythmien im Zusammenhang, die von der Unreife des Hirnstamms und autonomem Versagen herrühren. Bei über 95 Prozent dieser Patienten liegt eine zufällige Mutation am MeCP2-Gen vor. Episoden von Apnoe, Hyperventilation und Atemstörungen treten bei ca. 70 Prozent der Patienten mit Rett-Syndrom in irgendeiner Lebensphase auf. http://www.rettsyndrome.org

Über Newron Pharmaceuticals
Newron (SIX: NWRN) ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf neuartige Therapien für Erkrankungen des zentralen und peripheren Nervensystems konzentriert. Das Unternehmen hat seinen Hauptsitz im italienischen Bresso in der Nähe von Mailand. Xadago® (Safinamide) ist in der EU, der Schweiz, den USA, Australien und Kanada für die Behandlung der Parkinson-Krankheit zugelassen und wird von Newron's Partner Zambon vertrieben. US WorldMeds besitzt die Vermarktungsrechte in den USA. Meiji Seika hält die Entwicklungs- und Vermarktungsrechte in Japan und anderen Schlüsselregionen Asiens. Über Xadago® für die Parkinson-Krankheit hinaus verfügt Newron über eine starke Pipeline vielversprechender Behandlungen für Patienten mit seltenen Erkrankungen, die sich in unterschiedlichen Stadien der klinischen Entwicklung befinden. Dazu gehören Sarizotan für das Rett-Syndrom und Ralfinamide für Patienten mit bestimmten seltenen Schmerzindikationen. Newron entwickelt darüber hinaus Evenamide als mögliche erste Begleittherapie zur Behandlung von Patienten mit Positivsymptomen der Schizophrenie. Weitere Informationen unter www.newron.com

Für weitere Informationen:

Newron
Stefan Weber – CEO
+39 02 6103 46 26
pr@newron.com

Großbritannien/Europa
Julia Phillips / Natalie Garland-Collins, FTI Consulting
+44 20 3727 1000
SCnewron@fticonsulting.com

Schweiz
Martin Meier-Pfister, IRF Communications
+41 43 244 81 40
martin.meier-pfister@irfcom.ch

Deutschland/Europa
Anne Hennecke, MC Services
+49 211 52925222
anne.hennecke@mc-services.eu

USA
Beth Kurth, LaVoieHealthScience
+1 617 374 8800, Ext. 106
bkurth@lavoiehealthscience.com

Wichtige Hinweise

Dieses Dokument enthält zukunftsbezogene Aussagen, die (auf nicht erschöpfende Weise) folgende Themen betreffen: (1) die Fähigkeit von Newron, ihre Geschäftsfelder weiterzuentwickeln und auszubauen, die Entwicklung ihrer aktuellen Produktkandidaten erfolgreich abzuschliessen, laufende und zukünftige Kollaborationen zur Entwicklung und Vermarktung ihrer Produktkandidaten mit Erfolg zu führen und die Kosten (einschliesslich Personalkosten) zu senken, (2) den Markt für Arzneimittel zur Behandlung von Erkrankungen des ZNS und von Schmerzen, (3) die erwarteten zukünftigen Erträge, Investitionen und finanziellen Ressourcen von Newron und (4) diesen Aussagen zugrundeliegende Hypothesen. In manchen Fällen können diese Aussagen und Hypothesen anhand von Begriffen wie "werden", "voraussehen", "schätzen", "erwarten", "prognostizieren", "beabsichtigen", "planen", "vermuten", "abzielen" und anderen Wörtern und Begriffen mit ähnlicher Bedeutung erkannt werden. Alle in diesem Dokument enthaltenen Aussagen bezüglich der Strategie, den Zielen, den Plänen, der zukünftigen finanziellen Position, den prognostizierten Erträgen und Kosten sowie den Aussichten von Newron, mit Ausnahme historischer Fakten, sind zukunftsbezogene Aussagen. Aufgrund ihrer Natur sind diese Aussagen und Hypothesen mit allgemeinen und spezifischen Risiken und Unwägbarkeiten verbunden, wobei das Risiko besteht, dass explizit oder implizit in diesem Dokument enthaltene Voraussagen, Prognosen, Hochrechnungen und andere Ergebnisse nicht eintreffen. Zukünftige Ereignisse und tatsächliche Ergebnisse könnten sich aufgrund einer Reihe wichtiger Faktoren erheblich von jenen unterscheiden, die in diesen zukunftsbezogenen Aussagen beschrieben oder in Erwägung gezogen werden oder die diesen zugrunde liegen. Zu diesen Faktoren zählen (auf nicht erschöpfende Weise) die folgenden: (1) Unwägbarkeiten bei der Entdeckung, Entwicklung oder Vermarktung von Produkten, zu denen, ohne darauf beschränkt zu sein, negative Resultate von klinischen Studien oder Forschungsprojekten oder unerwartete Nebenwirkungen gehören, (2) Verzögerung bei der behördlichen Zulassung oder bei der Markteinführung bzw. Unmöglichkeit des Erhalts der Zulassung oder der Markteinführung, (3) die zukünftige Akzeptanz von Produkten auf dem Markt, (4) der Verlust von geistigen Eigentumsrechten oder die Unmöglichkeit, einen entsprechenden Schutz solcher Rechte zu erhalten, (5) die Unmöglichkeit, zusätzliche Mittel aufzubringen, (6) der Erfolg bestehender sowie das Zustandekommen zukünftiger Kollaborationen und Lizenzverträge, (7) Rechtsstreitigkeiten, (8) Verlust von wichtigen leitenden oder anderen Mitarbeitenden, (9) negative Publicity und Berichterstattung und (10) wettbewerbsbezogene, regulatorische, gesetzliche und juristische Entwicklungen oder Veränderungen des Marktes und/oder der allgemeinen wirtschaftlichen Bedingungen. Es ist möglich, dass Newron die in den zukunftsbezogenen Aussagen geäusserten Pläne, Absichten oder Erwartungen nicht verwirklicht, und dass sich die diesen Aussagen zu Grunde liegenden Hypothesen als falsch erweisen. Anleger sollten daher kein unangemessenes Vertrauen in diese Aussagen setzen. Es kann nicht garantiert werden, dass sich die tatsächlichen Ergebnisse von Forschungsprogrammen, Entwicklungsaktivitäten, Vermarktungsplänen, Kollaborationen und Geschäften nicht erheblich von den Erwartungen unterscheiden, die in derartigen zukunftsbezogenen Aussagen oder den zu Grunde liegenden Hypothesen zum Ausdruck gebracht werden. Newron sieht sich nicht verpflichtet, zukunftsbezogene Aussagen öffentlich zu aktualisieren oder zu revidieren, es sei denn, dies wird durch die geltenden Regelungen der SIX Swiss Exchange verlangt, an der die Aktien von Newron notiert sind. Dieses Dokument ist kein Angebot zum Verkauf von Wertpapieren in den Vereinigten Staaten, Kanada, Australien oder Japan oder einer anderen Gerichtsbarkeit, in der ein solches Angebot oder eine solche Aufforderung rechtswidrig wäre. Die hierin erwähnten Wertpapiere dürfen in den Vereinigten Staaten nicht ohne Registrierung oder einer Befreiung von der Registrierung nach dem US-amerikanischen Securities Act von 1933 in der geänderten Fassung verkauft werden. Newron beabsichtigt nicht, seine Wertpapiere in den Vereinigten Staaten zu registrieren oder ein öffentliches Angebot seiner Wertpapiere in den Vereinigten Staaten durchzuführen. Dieses Dokument ist weder ein Angebot noch eine Einladung zum Kauf oder zur Zeichnung von Wertpapieren von Newron, noch enthält sie ein derartiges Angebot oder eine derartige Einladung, weshalb keinerlei Teil von diesem Dokument als Basis oder Berufungsgrundlage eines Vertrages oder einer wie immer gearteten Verbindlichkeit zu sehen ist.