

LEO Pharma und PellePharm melden Kooperation zur Entwicklung innovativer Therapien für seltene Hautkrankheiten im Umfang von 760 Millionen US-Dollar
Nachrichtenquelle: Business Wire (dt.) | 20.11.2018

LEO Pharma, ein dänisches Unternehmen mit Spezialgebiet Dermatologie, und PellePharm, Vorreiter für seltene Krankheiten aus Kalifornien, gaben heute eine strategische Entwicklungs- und Vermarktungskoooperation bekannt, um ungelöste medizinische Bedürfnisse bei verschiedenen Hautkrankheiten ohne zugelassene Medikamente zu erfüllen und Innovation und Zugang zu potenziellen Therapien für Patienten mit lebensverändernden Erkrankungen wie dem Gorlin-Goltz-Syndrom und Hochfrequenz-Basalzellkarzinom (BZK), zwei verschiedenen und seltenen Hautkrebsformen, zu fördern.

Diese Pressemitteilung enthält multimediale Inhalte. Die vollständige Mitteilung hier ansehen: <https://www.businesswire.com/news/home/20181120005722/de/>

„Wir freuen uns sehr über die Partnerschaft mit PellePharm, den Pionieren des Gorlin-Goltz-Syndroms und Experten für seltene Hautkrankheiten. Sie unterstützt unsere ehrgeizige Strategie für 2025 und markiert den Einstieg von LEO Pharma in das Feld der seltenen Hautkrankheiten. Zudem bietet sie eine einzigartige Gelegenheit zur Weiterentwicklung des ersten Präparats zur Behandlung von Menschen mit einer sehr schweren Hautkrankheit, für die gegenwärtig keine Therapien zugelassen sind“, sagte Thorsten Thormann, Vice President of Research bei LEO Pharma. Im Rahmen der Vereinbarung hat sich LEO Pharma zunächst zur Zahlung von 70 Millionen US-Dollar verpflichtet, die sich aus Eigenkapitalfinanzierung und finanzieller Unterstützung von Forschung und Entwicklung zusammensetzen, um die weltweite Phase-3-Studie für das topische Gel Patidegib, 2%, zur Vorbeugung und Behandlung des Gorlin-Goltz-Syndroms zu finanzieren, wobei sich LEO Pharma eine Option zum Erwerb aller Anteile an PellePharm sichert. PellePharm und seine Aktionäre könnten darüber hinaus bis zu 690 Millionen US-Dollar inklusive einer Fusionszahlung und Meilensteinzahlungen für Zulassung und Vermarktung erhalten. Außerdem haben die Aktionäre von PellePharm nach Erreichen bestimmter kommerzieller Meilensteine Anspruch auf eine zweistellige Lizenzzahlung. „Unser Unternehmen basiert auf dem Engagement, seltene dermatologische Erkrankungen an der Quelle zu bekämpfen und Patienten so effizient und effektiv wie möglich neue bahnbrechende Behandlungsmethoden zur Verfügung zu stellen. Als weltweit führendes Unternehmen auf dem Gebiet der medizinischen Dermatologie ist LEO Pharma der ideale Entwicklungs- und Vermarktungspartner. Diese Zusammenarbeit stellt die Weichen für die Aufnahme unserer zulassungsrelevanten Phase-3-Studie zum Gorlin-Goltz-Syndrom Anfang 2019. Im Anschluss an die mögliche Fusion freuen wir uns auf die Zusammenarbeit mit LEO Pharma bei weiteren seltenen Hautkrankheiten mit unerfüllten Bedürfnissen“, sagte Sanuj Ravindran, President und Chief Executive Officer von PellePharm. Gemäß der Vereinbarung soll ein gemeinsamer Entwicklungsausschuss eingerichtet werden, in dem PellePharm die Verantwortung für die weltweite Entwicklung übernimmt und LEO Pharma eine beratende Funktion erhält. Beide Unternehmen werden gemeinsam die Vermarktungsplanung vorantreiben und Anders Kronborg, Chief Financial Officer von LEO Pharma, wird der Geschäftsführung von PellePharm beitreten. „Die Gorlin Syndrome Group begrüßt die Nachricht über die Zusammenarbeit von PellePharm und LEO Pharma bei der Entwicklung von Patidegib mit topischer Anwendung zur BZK-Behandlung. Daten aus der Phase-2-Studie von PellePharm lassen darauf schließen, dass Patidegib bei

minimalen Nebenwirkungen ein wirksames Präparat zur BZK-Behandlung ist. Wir hoffen, dass sich durch die Zusammenarbeit mit LEO diese Vorteile in einer Phase-3-Studie bestätigen lassen. Ein wirksames Mittel zur topischen Behandlung, das der Prävention bzw. Behandlung von BZK dient, könnte schmerzhafte, störende und entstellende chirurgische Eingriffe, denen wir uns zurzeit unterziehen, verhindern“, sagten Sally Webster, Chairperson, und Matthew Helbert, Trustee der Gorlin Syndrome Group U.K. Derzeit gibt es keine von der FDA zugelassenen Therapien für das Gorlin-Goltz-Syndrom und Operationen sind der Behandlungsstandard für diese seltene Krankheit. Mitunter müssen sich Patienten mit dieser lebenslangen, schweren Erkrankung bereits ab dem mittleren Teenageralter bis zu 30 Operationen pro Jahr unterziehen. Die topische Formulierung (2%) Patidegib von PellePharm soll die erste zugelassene Therapie zur Prävention des Gorlin-Goltz-Syndroms, auch als nävoïdes Basalzellkarzinom (Basal Cell Carcinoma Nevus Syndrome, BCCNS) bezeichnet, werden und hat sich in klinischen Phase-2-Studien bei der Behandlung von Patienten mit Gorlin-Goltz-Syndrom und sporadischem BZK in den USA und in Großbritannien als vielversprechend erwiesen. „Seit mehr als 18 Jahren widmet sich unsere Organisation der Unterstützung, Aufklärung und Suche nach dringend benötigten Präparaten für Menschen mit dem Gorlin-Goltz-Syndrom (BCCNS) und dennoch gibt es für diese folgenschwere Krankheit immer noch keine von der FDA zugelassenen Therapien“, sagte Jean Pickford, Executive Director der BCCNS Alliance. „Insbesondere vor dem Hintergrund der Phase-3-Studie zu Patidegib, für die Anfang 2019 mit der Rekrutierung begonnen wird, ist das Engagement von PellePharm - inzwischen in Kooperation mit LEO Pharma - sehr ermutigend für unsere Gemeinschaft.“

Über Patidegib

Das topische Gel Patidegib hat sich in einer klinischen Phase-2-Studie zur Linderung von BZK-Tumoren beim Gorlin-Goltz-Syndrom als vielversprechend erwiesen, indem der Hedgehog-Signalweg blockiert und damit die Krankheit an der Quelle bekämpft wird. Die topische Formulierung Patidegib soll die Wirksamkeit erreichen, die bereits für orales Patidegib in Phase-1-Studien ohne Auftreten von negativen systemischen Nebenwirkungen nachgewiesen wurde. Die Gelformulierung ist bei Raumtemperatur mindestens zwei Jahre lang stabil, sodass dies eine realistische Therapieoption zur laufenden, daheim anzuwendenden Behandlung des Gorlin-Goltz-Syndroms und des Hochfrequenz-BZK sein könnte. PellePharm hat von der FDA sowohl die Orphan Drug Designation als auch die Breakthrough Therapy Designation für das topische Gel Patidegib zur Behandlung des Gorlin-Goltz-Syndroms erhalten.

Über das Gorlin-Goltz-Syndrom

Das Gorlin-Goltz-Syndrom ist eine seltene, genetisch bedingte Krankheit, die durch konstitutionelle, vererbte Mutationen in einem Allel des Tumorsuppressorgens PATCHED1 (PTCH1) gekennzeichnet ist, das als primärer Inhibitor des Hedgehog-Signalwegs wirkt. Dadurch bilden sich meist im Gesicht mehrere Basalzellkarzinome.

Da es keine von der FDA zugelassenen Medikamente für das Gorlin-Goltz-Syndrom gibt, sind Operationen der Behandlungsstandard. Es kann vorkommen, dass sich Menschen mit

schwerem Gorlin-Goltz-Syndrom bis zu 30 Operationen pro Jahr unterziehen müssen, die oftmals wiederholt werden müssen und mit Vernarbungen und Entstellungen verbunden sein können. Schätzungen zufolge sind etwa 10.000 Menschen in den Vereinigten Staaten bzw. eine von 31.000 Personen vom Gorlin-Goltz-Syndrom betroffen. Das Gorlin-Goltz-Syndrom wird auch als Gorlin-Syndrom, Basalzellnävus-Syndrom (Basal Cell Nevus Syndrom, BCNS) und nävoides Basalzellkarzinom-Syndrom (Nevoid Basal Cell Carcinoma Syndrom, NBCCS) bezeichnet.

Über das Hochfrequenz-Basalzellkarzinom (BZK)

Das Hochfrequenz-BZK ist wie Gorlin-Goltz-Syndrom eine seltene Krankheit, die durch die Entwicklung einer ungewöhnlich hohen BZK-Anzahl gekennzeichnet ist. Im Gegensatz zu Patienten mit dem Gorlin-Goltz-Syndrom werden Patienten mit einem Hochfrequenz-BZK nicht mit einer Keimbahnmutation im PTCH1-Gen geboren und leiden nicht unter den weiteren systemischen Ausprägungen des Gorlin-Goltz-Syndroms. Der Behandlungsstandard für Patienten mit Hochfrequenz-BZK sind Operationen.

Über LEO Pharma

LEO Pharma verhilft den Menschen zu einer gesunden Haut. Das Unternehmen versorgt Patienten in über 130 Ländern mit verschiedenen Pflegelösungen und hilft Menschen so bei der Behandlung ihrer Hauterkrankungen. LEO Pharma, ein 1908 gegründetes Gesundheitsunternehmen im Besitz der LEO-Stiftung mit Sitz in Dänemark, widmet sich seit Jahrzehnten der Forschung und Entwicklung von Produkten und Lösungen für Menschen mit Hauterkrankungen. 2017 beschäftigte LEO Pharma weltweit rund 5.200 Mitarbeiter und erwirtschaftete einen Umsatz von 1,4 Milliarden Euro. Weitere Informationen erhalten Sie unter www.leo-pharma.com / www.linkedin.com/company/leo-pharma

Über PellePharm

Gegründet von weltweit führenden Unternehmen auf dem Gebiet der Signalgebung im Hedgehog-Signalweg, engagiert sich PellePharm, ein Unternehmen von BridgeBio, für die Bekämpfung seltener, genetisch bedingter Hautkrankheiten wie dem Gorlin-Goltz-Syndrom und dem Hochfrequenz-Basalzellkarzinom (BZK) an ihrer Quelle. Die Mission von PellePharm besteht in der Verbesserung der Lebensqualität von Menschen mit dem Gorlin-Goltz-Syndrom und Hochfrequenz-BZK mithilfe eines einfach anzuwendenden topischen Gels, das regelmäßige, schmerzhafte Eingriffe überflüssig macht. Das topisch angewendete Gel Patidegib ist ein topisches First-in-Class-Arzneimittel mit einem proprietären Hedgehog-Hemmer. Über BridgeBio Pharma BridgeBio ist ein in klinischen Entwicklungsstadien tätiges Biotechnologieunternehmen, das neuartige, genetische Therapien entwickelt, um das Leben der Patienten zu verbessern. BridgeBio kombiniert in seinem Ansatz die traditionelle Ausrichtung auf die Medikamentenentwicklung mit einem einzigartigen Unternehmensmodell, das eine schnelle Umsetzung der Frühphasenforschung in Medikamente zur Behandlung von Krankheiten an der Quelle ermöglicht. 2015 von einem Team von Branchenkennern gegründet, hat das Unternehmen ein robustes Portfolio von siebzehn transformativen Medikamenten aufgebaut, das von vorklinischen bis zur späten Phasen der Entwicklung in verschiedenen Therapiebereichen wie Onkologie, Kardiologie,

Dermatologie und Endokrinologie reicht. Der Fokus des Unternehmens auf wissenschaftlicher Spitzenleistung und schneller Umsetzung richtet sich auf die Umwandlung der Erkenntnisse von heute in die Medikamente von morgen.

Die Ausgangssprache, in der der Originaltext veröffentlicht wird, ist die offizielle und autorisierte Version. Übersetzungen werden zur besseren Verständigung mitgeliefert. Nur die Sprachversion, die im Original veröffentlicht wurde, ist rechtsgültig. Gleichen Sie deshalb Übersetzungen mit der originalen Sprachversion der Veröffentlichung ab. Originalversion auf [businesswire.com](https://www.businesswire.com) ansehen:

<https://www.businesswire.com/news/home/20181120005722/de/>