

Accordo fra CSL Behring e uniQure per l'acquisizione di una nuova terapia genica in fase avanzata di sviluppo clinico per i pazienti affetti da Emofilia B

- *Questa terapia genica potrebbe essere uno dei primi trattamenti che arriveranno sul mercato a fornire benefici potenzialmente a lungo termine con una sola dose*
- *CSL Behring continua, come nella sua tradizione, a fornire terapie innovative per le persone con Emofilia B*

KING OF PRUSSIA, Pa., – 24 Giugno 2020 – CSL Behring, leader globale nell'ambito delle bioterapie, ha annunciato oggi di aver acquisito i diritti di licenza globali esclusivi per commercializzare un programma di terapia genica con virus adeno-associato (AAV), AMT-061 (etranacogene dezaparvovec), per il trattamento dell'emofilia B di uniQure (NASDAQ: QURE), una azienda leader in terapie geniche. Il programma AMT-061, attualmente in fase III di sperimentazione clinica, potrebbe essere una delle prime terapie geniche a fornire benefici potenzialmente a lungo termine ai pazienti con Emofilia B.

Una dose di AMT-061 ha dimostrato di aumentare i livelli plasmatici del fattore IX (FIX) - la proteina della coagulazione del sangue che manca nelle persone affette da emofilia B - ad un livello che riduce o elimina il rischio di eventi emorragici per molti anni. Se AMT-061 dovesse avere successo, i pazienti affetti da Emofilia B e che possiedono idonei requisiti, sarebbero in grado di sottoporsi a un trattamento *una tantum* per ripristinare l'attività del FIX a livelli funzionali tali da eliminare la necessità di frequenti e continue terapie sostitutive.

"La nostra visione per i pazienti affetti da Emofilia B è quella di offrire terapie innovative che li aiutino a liberarsi dal peso di questa malattia che dura tutta la vita", ha affermato Paul Perreault, CEO e Amministratore Delegato di CSL. "Con la nostra trentennale esperienza nel fornire innovazioni salvavita alla comunità globale dei pazienti che soffrono di problemi della coagulazione, riteniamo di avere le carte in regola per massimizzare il potenziale beneficio di questa terapia."

In base all'accordo con uniQure, alla chiusura della transazione, CSL Behring avrà il diritto globale esclusivo di commercializzare AMT-061. uniQure riceverà un pagamento in contanti anticipato di 450 milioni di US \$, seguito da pagamenti e royalties al raggiungimento di pietre miliari regolatorie e commerciali. Secondo i termini dell'accordo, uniQure completerà il trial di Fase III e aumenterà la produzione per la fornitura commerciale anticipata, secondo un piano concordato con CSL Behring. La transazione è soggetta alle consuete autorizzazioni regolatorie prima di considerarsi chiusa.

"Siamo entusiasti di stipulare questo accordo di commercializzazione e licenza con CSL Behring, un partner commerciale ideale con presenza globale e decenni di esperienza nell'Emofilia", ha affermato Matt Kapusta, Amministratore Delegato di uniQure. "Riteniamo che, grazie a questo accordo, siamo nella posizione ideale per offrire la nostra terapia genica innovativa al maggior numero di pazienti con emofilia B il più rapidamente possibile. La transazione rappresenta un'importante pietra miliare nello sviluppo dell'etranacogene dezaparvovec e, una volta chiusa, prevediamo che fornirà a uniQure risorse finanziarie significative per far avanzare ed espandere la nostra pipeline di nuovi potenziali prodotti per la terapia genica, primo fra tutti AMT-130 per la cura della malattia di Huntington, oltre a consentirci di investire ulteriormente nella nostra eccezionale piattaforma produttiva e tecnologica. "

Nel dicembre 2019, uniQure ha annunciato che i dati emersi dal suo studio di Fase IIb di conferma della dose di AMT-061 hanno mostrato che tutti i pazienti hanno stabilizzato e aumentato l'attività del FIX a livelli funzionalmente elevati un anno dopo una singola dose - con aumenti dell'attività del FIX fino al 50% del normale ed una media del 41%. Questi livelli superano quelli normalmente considerati sufficienti ad eliminare o ridurre significativamente il rischio di eventi emorragici.

Secondo l'Executive Vice President di CSL Behring, capo della ricerca e sviluppo e Chief Medical Officer Bill Mezzanotte, "I dati che abbiamo visto su AMT-061 sono estremamente incoraggianti. Questa opzione terapeutica non solo ha dimostrato una risposta clinicamente significativa nell'attività del FIX, ma ha anche mostrato un'eccellente sicurezza anche dopo vari anni di osservazione. L'ampliamento del nostro portafoglio di terapia genica per il trattamento dell'emofilia B, una condizione patologica ben nota a CSL Behring, esemplifica il modo in cui stiamo strategicamente allineando il nostro focus sulle malattie rare e gravi e le aree terapeutiche target con le nostre piattaforme scientifiche per aiutare a migliorare significativamente la vita dei pazienti."

Questa acquisizione migliorerà anche le capacità di CSL Behring nel far crescere il proprio portafoglio di terapia genica. La società sta attualmente sviluppando una terapia genica con cellule staminali (CSL200) per il trattamento dell'anemia falciforme e ha recentemente stabilito un'alleanza con il Seattle Children's Research Institute per sviluppare una terapia genica con cellule staminali per le immunodeficienze primitive - un'altra area di malattie rare in cui CSL Behring ha grandi competenze.

Perreault aggiunge, "Dopo l'approvazione, questa terapia di nuova generazione sarà complementare al nostro attuale portafoglio di prodotti "best-in-class" per l'Emofilia B con un'opzione di trattamento alternativa a sua volta "best-in-class". Con la licenza di AMT-061, stiamo ampliando la nostra offerta di

terapie volte ad offrire innovazioni salvavita nell'ematologia dove, oggi, offriamo già un prodotto leader di mercato per l'emofilia B; siamo anche leader nelle terapie per il trattamento dell'Emofilia A, della malattia di von Willebrand, nelle trombosi ed in altre condizioni che possono potenzialmente mettere a rischio la vita."

CSL Behring ha sempre messo i pazienti al primo posto occupandosi delle malattie più gravi, complesse e rare del mondo da oltre 100 anni. L'azienda sta ora assumendo lo stesso impegno nella terapia genica; la sua missione è quella di rispondere alle esigenze insoddisfatte dei pazienti e consentire loro di ottenere il meglio dalla vita.

Informazioni su Etranacogene Dezaparvovec (AMT-061)

Etranacogene dezaparvovec, noto anche come AMT-061, è costituito da un vettore virale AAV5 che trasporta un filamento genico della variante di Padova (protetta da brevetto) del Fattore IX (FIX-Padua). È stato dimostrato che le terapie geniche basate su AAV5 sono sicure e ben tollerate in molti studi clinici, tra cui quattro studi uniQure condotti su 25 pazienti con Emofilia B e altre indicazioni. Nessun paziente trattato in studi clinici con le terapie geniche basate su AAV5 di uniQure ha sviluppato una risposta immunitaria citotossica al capsido mediata da cellule T. Inoltre, i dati preclinici e clinici mostrano che le terapie geniche basate su AAV5 possono essere clinicamente efficaci anche nei pazienti con preesistenti anticorpi contro AAV5, aumentando così potenzialmente l'eleggibilità del paziente al trattamento rispetto ad altri prodotti candidati per la terapia genica.

Informazioni su CSL Behring

[CSL Behring](#) è un leader globale nell'ambito delle bioterapie guidato dalla sua promessa di salvare vite umane. Incentrati sul rispondere ai bisogni dei pazienti utilizzando le ultime tecnologie, sviluppiamo e forniamo terapie innovative che vengono utilizzate per trattare i disturbi della coagulazione, le immunodeficienze primitive, l'angioedema ereditario, malattie respiratorie e disturbi neurologici. I prodotti dell'azienda vengono anche utilizzati in cardiocirurgia, nel trattamento delle ustioni e nella prevenzione della malattia emolitica del neonato.

CSL Behring gestisce una delle più grandi reti al mondo di raccolta del plasma, CSL Plasma. La casa madre, [CSL Limited](#) (ASX:CSL;USOTC:CSLLY), con sede a Melbourne, Australia, dà lavoro a più di 26.000 persone e offre terapie salvavita a persone in oltre 100 paesi. Per conoscere storie interessanti sulle promesse della biotecnologia, visita Vita [CSLBehring.com/vita](#) e seguici su [Twitter.com/CSLBehring](#).