

Übersetzung der DHH, es gilt das englische Original

Pressemeldung von PTC Therapeutics

PTC Therapeutics veröffentlicht positive Zwischenergebnisse der klinischen PIVOT-HD-Studie bei Patienten mit der Huntington-Krankheit

21. Juni 2023

- *Dosisabhängige Senkung der Huntingtin (HTT)-Proteinspiegel im Blut nach 12 Wochen*
- *Günstiges Verträglichkeitsprofil ohne behandlungsbedingte schwerwiegende unerwünschte Ereignisse oder NfL-Spitzen*
- *Telefonkonferenz und Webcast finden am 21. Juni um 8:00 Uhr EDT statt.*

SOUTH PLAINFIELD, N.J., 21. Juni 2023 /PRNewswire/ -- PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ: PTCT) gab heute Zwischenergebnisse aus dem 12-wöchigen Teil der Phase-2-Studie PIVOT-HD mit PTC518 bei Patienten mit Huntington-Krankheit (HD) bekannt. Die Studie zeigte eine dosisabhängige Senkung des Huntingtin (HTT)-Proteinspiegel in peripheren Blutzellen und erreichte eine durchschnittliche Senkung des Spiegels des mutierten HTT um 30 % bei einer PTC518-Dosis von 10 mg. Darüber hinaus entsprach die PTC518-Belastung im Liquor dem ungebundenen Plasmaspiegel oder war höher als dieser.

Die Behandlung mit PTC518 erwies sich auch als gut verträglich, es gab keine behandlungsbedingten schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse, keine Berichte über periphere Neuropathien oder dosislimitierende Toxizitäten. Darüber hinaus traten keine behandlungsbedingten Erhöhungen des Neurofilament-Leichtkettenproteins (NfL) im Liquor auf, wobei ein allgemeiner Trend zu reduzierten NfL-Spiegel im Liquor nach einer 12-wöchigen Behandlung mit PTC518 festgestellt wurde.

"Wir sind sehr erfreut über die ermutigenden Daten aus der PIVOT-HD-Zwischenanalyse, die eine dosisabhängige HTT-Senkung, eine gewünschte Liquorexposition und ein günstiges Verträglichkeitsprofil zeigen ohne Hinweise auf behandlungsbedingte schwerwiegende unerwünschte Ereignisse oder NfL-Spitzen im Liquor", sagte Dr. Matthew Klein, Vorstandsvorsitzender von PTC Therapeutics, Inc.

PIVOT-HD ist eine globale, placebo-kontrollierte Studie und besteht aus zwei Teilen: einer ersten 12-wöchigen placebo-kontrollierten Phase, in der der Schwerpunkt auf der Pharmakologie und der Pharmakodynamik von PTC518 liegt, gefolgt von einem 9-monatigen placebo-kontrollierten Studienteil. Die Studie wird zunächst zwei Dosisstufen umfassen, 5 und 10 Milligramm, mit der Möglichkeit, eine dritte Dosisstufe von bis zu 20 Milligramm aufzunehmen.

Heutige Telefonkonferenz und Webcast

PTC wird heute (21. Juni 2023). [...]. Die Webcast-Telefonkonferenz kann im Investorenbereich der PTC-Website unter <https://ir.ptcbio.com/events-presentations>

abgerufen werden. Eine Aufzeichnung der Telefonkonferenz wird [...] auf der Website des Unternehmens für 30 Tage nach der Konferenz archiviert werden.

Über PTC518

PTC entwickelt ein potenzielles Medikament zur Behandlung der Huntington-Krankheit auf der Grundlage unserer Spleiß-Plattformtechnologie. PTC518, ein kleines Molekül, das oral eingenommen werden kann, reduziert die Produktion des mutierten Huntingtin-Proteins, das zur Schädigung und zum Absterben der Nervenzellen führt, was wiederum das Fortschreiten der Krankheit zur Folge hat. Das oral bioverfügbare kleine Molekül durchdringt die Blut-Hirn-Schranke, ist selektiv, titrierbar und wird nicht ausgeleitet, was die wichtigsten Differenzierungseigenschaften sind.

Über die Huntington-Krankheit

Die Huntington-Krankheit (HD) ist eine seltene, erblich bedingte, genetische Störung des zentralen Nervensystems ¹. Sie wird durch ein defektes Gen verursacht. Dieses Gen produziert ein Protein namens Huntingtin, das an der Funktion der Nervenzellen im Gehirn (Neuronen) beteiligt ist. Wenn das Gen defekt ist, produziert es ein abnormales (oder mutiertes) Huntingtin-Protein, das toxisch ist und zu Schäden an den Nervenzellen und deren Absterben führt ². HD tritt in der Regel bei Menschen im Alter von 30 – 40 Jahren auf. Die Symptome können aber auch schon früher im Leben auftreten und werden dann als juvenile HD bezeichnet ^{2, 3}. Es gibt auch Fälle von infantiler HD, bei denen die Symptome bei Kindern, die jünger als 10 Jahre alt sind, auftreten ². Die Symptome sind zwar von Person zu Person unterschiedlich, aber die Krankheit betrifft in erster Linie das Gehirn und führt zu abnormalen Bewegungen, Schwierigkeiten beim Sprechen, Schlucken und Gehen sowie eine Reihe anderer Symptome wie Verhaltensstörungen sowie kognitiven und motorischen Symptomen ^{4, 5}.

Es gibt zwar zugelassene Therapien für bestimmte Krankheitssymptome, aber derzeit gibt es keine Heilung für die Huntington-Krankheit, und es gibt keine zugelassenen Medikamente, die den Krankheitsausbruch verzögern oder das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen.

Über PTC Therapeutics, Inc.

PTC ist ein weltweit tätiges biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entdeckung, Entwicklung und Vermarktung von klinisch differenzierten Medikamenten konzentriert, die Patienten mit seltenen Krankheiten zugutekommen. Die Fähigkeit von PTC, durch Innovation neue Therapien zu entwickeln und Produkte weltweit zu vermarkten, ist die Grundlage für Investitionen in eine große Anzahl robuster und breit gefächelter innovativer Medikamente. PTC hat es sich zur Aufgabe gemacht, Patienten, die nur wenige oder gar keine Behandlungsmöglichkeiten haben, Zugang zu erstklassiger Versorgung zu ermöglichen. Die Strategie von PTC besteht darin, das starke wissenschaftliche und klinische Fachwissen sowie die globale kommerzielle Infrastruktur zu nutzen, um Therapien zu den Patienten zu bringen. PTC ist davon überzeugt, dass sich auf diese Weise der Wert für alle Interessengruppen maximieren lässt. Um mehr über PTC zu erfahren, besuchen Sie uns bitte unter <https://www.ptcbio.com/> und folgen Sie uns auf Facebook, Instagram, LinkedIn und Twitter unter @PTCBio.

Für mehr Informationen und Medienanfragen:

Jeanine Clemente

+1 (908) 912-9406

jclemente@ptcbio.com

Referenzen:

1. World Health Organization, 2020. 8A01.10 Huntington disease. Available at: <https://icd.who.int/browse11/l-m/en#/http://id.who.int/icd/entity/2132180242> Accessed October 2021. 1
2. Gatto EM, González Rojas N, Persi G, et al. Clin Parkinsonism Rel Disord 2020;3:100056.
3. Tabrizi SJ, Flower MD, Ross CA, et al. Nat Rev Neurol 2020;16(10):529–546.
4. Roos RAC. Orphanet J Rare Dis 2010;5:40.
5. Kirkwood SC, Su JL, Conneally P, et al. Arch Neurol 2001;58(2):273–278.