



Bayer AG
Communications
51368 Leverkusen
Deutschland
Tel. +49 214 30-1
media.bayer.de

Presse-Information

Bayer entwickelt zwei neuartige Zell- und Gentherapien gegen Parkinson

- Parkinson-Krankheit ist häufigste neurodegenerative Bewegungsstörung
 - Weltweit mehr als 10 Millionen Menschen betroffen
 - Derzeit keine funktionswiederherstellende Therapie verfügbar
 - Bayer verfolgt mit je einem Zell- und einem Gentherapie-Kandidaten in der klinischen Entwicklung zweigleisigen Ansatz zur Entwicklung transformativer Therapien
-

Berlin, 8 Juni, 2021 – Das biopharmazeutische Bayer-Tochterunternehmen BlueRock Therapeutics (BlueRock) hat dem ersten Parkinson-Patienten weltweit in einer offenen klinischen Phase-1-Studie erfolgreich dessen erste Dosis mit aus pluripotenten Stammzellen gewonnenen dopaminergen Neuronen, mit dem Namen DA01, verabreicht. In einem weiteren Projekt wird von der Bayer-Tochter Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio) parallel ein Gentherapie-Programm vorangetrieben, das auf klinischen Adeno-assoziierte Viren (AAV) basiert. Dieses Projekt zielt ebenfalls auf eine neuartige Therapie für die Parkinson-Krankheit ab und rekrutiert sowie evaluiert derzeit Patienten in einer laufenden klinischen Phase-1b-Studie.

„Wir schätzen das Potenzial der klinischen Produkt-Kandidaten von BlueRock und AskBio zur Behandlung der Parkinson-Krankheit als sehr hoch ein“, sagte Wolfram Carius, Leiter von Bayers Zell- und Gentherapieplattform. „Zum ersten Mal könnte es möglich sein, diese degenerative Erkrankung zu stoppen und ihren Verlauf umzukehren. So könnte Patienten mit hohem ungedeckten therapeutischen Bedarf wirklich geholfen werden. Der Start der klinischen Studien ist der Aufbruch hin zu einer bahnbrechenden Behandlungsmöglichkeit, um das Leben von Patienten dramatisch zu verbessern.“

Die Parkinson-Krankheit ist die häufigste neurodegenerative Bewegungsstörung, von der weltweit mehr als 10 Millionen Menschen betroffen sind. Sie wird durch eine Schädigung der Nervenzellen im Gehirn verursacht, die zu einem Mangel an Dopamin (einem Neurotransmitter, der an Prozessen wie Gedächtnis oder Bewegung beteiligt ist) führt. Die Krankheit beginnt oft mit einem Zittern in einer Hand. Weitere Symptome sind Steifheit, Krämpfe und Dyskinesien (unwillkürliche, unberechenbare, sich windende Bewegungen von Gesicht, Armen, Beinen oder Rumpf). Dopamin-Substitute wie Levodopa werden häufig eingesetzt, um die Symptome der Krankheit zu lindern. Ihre Wirkung nimmt allerdings mit dem Fortschreiten der Krankheit ab und es gibt derzeit keine therapeutische Behandlungsmöglichkeit. Zell- und Gentherapien gehen über die symptomatische Behandlung hinaus, indem sie die Ursache der Krankheit behandeln.

Mit dem Einsatz von authentischen dopaminergen Neuronen zielt BlueRock darauf ab, die betroffenen Regionen des menschlichen Gehirns zu re-innervieren und den degenerativen Prozess umzukehren. Hierdurch könnte die motorische Funktion wiederhergestellt werden. In die klinische Studie von BlueRock werden insgesamt zehn Patienten an Klinikzentren in den USA und Kanada aufgenommen. In dieser Studie werden die Patienten einer chirurgischen Transplantation der Dopamin-produzierenden Zellen in das Putamen unterzogen, eine tiefe Gehirnstruktur, die von der Parkinson-Krankheit betroffen ist. Das primäre Ziel der Phase-1-Studie (NCT04802733) ist die Bewertung der Sicherheit und Verträglichkeit der DA01 Zelltransplantation ein Jahr nach der Transplantation. Die sekundären Ziele der Studie sind die Bewertung des Nachweises des Überlebens der transplantierten Zellen und der motorischen Effekte nach einem und zwei Jahren nach der Transplantation, die Bewertung der anhaltenden Sicherheit und Verträglichkeit nach zwei Jahren sowie die Bewertung der Durchführbarkeit der Transplantation.

Der Ansatz von AskBio basiert auf Adeno-assoziierten Viren (AAV), die das humane GDNF-Gen (glial cell line-derived neurotrophic factor) an die Neuronen im Putamen des Gehirns liefert, was zur Expression und Sekretion von GDNF-Protein in den von der Parkinson-Krankheit betroffenen Hirnregionen führt. Langzeitexperimente mit AAV-GDNF zeigten, dass eine anhaltende Expression von GDNF die Regeneration von Mittelhirn-Neuronen und eine signifikante motorische Erholung bei Nagetieren und nicht-menschlichen Primatenmodellen fördern kann. AskBios klinische Studie rekrutiert und evaluiert derzeit Patienten in der Phase 1b in den USA, um die Sicherheit und vorläufige

Wirksamkeit zu bewerten. Seit dem Start der Phase-1b-Studie (NCT04167540) im August 2020 wurden insgesamt 10 Patienten rekrutiert.

Über Bayer

Bayer ist ein weltweit tätiges Unternehmen mit Kernkompetenzen auf den Life-Science-Gebieten Gesundheit und Ernährung. Mit seinen Produkten und Dienstleistungen will das Unternehmen Menschen nützen und die Umwelt schonen, indem es zur Lösung grundlegender Herausforderungen einer stetig wachsenden und alternden Weltbevölkerung beiträgt. Bayer verpflichtet sich dazu, mit seinen Geschäften einen wesentlichen Beitrag zur nachhaltigen Entwicklung zu leisten. Gleichzeitig will der Konzern seine Ertragskraft steigern sowie Werte durch Innovation und Wachstum schaffen. Die Marke Bayer steht weltweit für Vertrauen, Zuverlässigkeit und Qualität. Im Geschäftsjahr 2020 erzielte der Konzern mit rund 100.000 Beschäftigten einen Umsatz von 41,4 Milliarden Euro. Die Ausgaben für Forschung und Entwicklung beliefen sich bereinigt um Sondereinflüsse auf 4,9 Milliarden Euro. Weitere Informationen sind im Internet zu finden unter www.bayer.de

Über AskBio

Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio), eine im Jahr 2020 erworbene und unabhängig geführte Tochtergesellschaft der Bayer AG, ist ein voll integriertes AAV-Gentherapie-Unternehmen, das die Entwicklung lebensrettender Medikamente zur Heilung genetischer Krankheiten anstrebt. AskBio unterhält ein Portfolio an klinischen Programmen für eine Reihe von neurodegenerativen, neuromuskulären und kardiologischen Indikationen mit einer aktuellen klinischen Pipeline, zu der Therapeutika für die Pompe'sche und Parkinson'sche Krankheit, für die kongestive Herzinsuffizienz sowie auslizenzierte klinische Indikationen für Hämophilie und Duchenne-Muskeldystrophie gehören. Die Gentherapieplattform von AskBio umfasst den branchenführenden, proprietären Zelllinien-Herstellungsprozess Pro10™ und eine umfangreiche Kapsid- und Promotor-Bibliothek Adeno-assoziiierter Viren (AAV). Das Unternehmen mit Sitz im Research Triangle Park, North Carolina, hat Hunderte von proprietären AAV-Kapsiden und Promotoren der dritten Generation generiert, von denen mehrere bereits die klinische Entwicklung durchlaufen. Als früher Innovator in diesem Gebiet hält das Unternehmen mehr als 500 Patente, z. B. in den Bereichen AAV-Produktion und chimärische und selbstkomplementäre Kapside. Weitere Informationen befinden sich unter <https://www.askbio.com> sowie auf [LinkedIn](#).

Über BlueRock Therapeutics

BlueRock Therapeutics entwickelt maßgeschneiderte Zellen mit dem Ziel, sie als regenerative Arzneimittel für schwer zu behandelnde Krankheiten einzusetzen. Die CELL+GENE™-Plattform von BlueRock Therapeutics ermöglicht die Entwicklung, Herstellung und Anwendung authentischer Zelltherapien mit veränderter Funktionalität durch die gleichzeitige Nutzung der Biologie pluripotenter Zellen und der Genom Editierung. Dies ermöglicht einen Ansatz, bei dem theoretisch jede Zelle im Körper hergestellt und jedes Gen im Genom für therapeutische Zwecke manipuliert werden kann. Die Plattform ist breit einsetzbar, das Unternehmen konzentriert sich derzeit auf die Bereiche Neurologie, Kardiologie und Immunologie. Im August 2019 wurde das Unternehmen von der Bayer AG für einen Wert von 1 Mrd. \$ in Form von Vorab- und Meilensteinzahlungen übernommen. Für BlueRock ist dies der nächste Schritt auf dem Weg, zu beweisen, dass degenerative Erkrankungen reversibel sind und seine revolutionären neuen Medikamente zu den Patienten zu bringen, die sie dringend benötigen. Weitere Informationen befinden sich unter bluerocktx.com.

Kontakt für Medien:

Nuria Aiguabella Font, Tel. +49 30 468-193 131

Email: nuria.aiguabellafont@bayer.com

Kontakt für Investoren:

Bayer Investor Relations Team, Tel. +49 214 30-72704

E-Mail: ir@bayer.com

www.bayer.com/de/investoren/ir-team

Mehr Informationen finden Sie unter <https://pharma.bayer.com/>

Folgen Sie uns auf Facebook: www.facebook.com/pharma.bayer

Folgen Sie uns auf Twitter: [@BayerPharma](https://twitter.com/BayerPharma)

naf (2021-0113)

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Presse-Information kann bestimmte in die Zukunft gerichtete Aussagen enthalten, die auf den gegenwärtigen Annahmen und Prognosen der Unternehmensleitung von Bayer beruhen. Verschiedene bekannte wie auch unbekannte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren können dazu führen, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Entwicklung oder die Performance der Gesellschaft wesentlich von den hier gegebenen Einschätzungen abweichen. Diese Faktoren schließen diejenigen ein, die Bayer in veröffentlichten Berichten beschrieben hat. Diese Berichte stehen auf der Bayer-Webseite www.bayer.de zur Verfügung. Die Gesellschaft übernimmt keinerlei Verpflichtung, solche zukunftsgerichteten Aussagen fortzuschreiben und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklungen anzupassen. n und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklungen anzupassen.