

Bayer entwickelt als erstes Unternehmen sowohl Zell- als auch Gentherapie zur Behandlung von Parkinson

Erste zulassungsrelevante Phase-III-Studie exPDite-2 für allogene, pluripotente Stammzelltherapie Bemdaneprocel gestartet / Phase-II-Gentherapie-Studie REGENERATE-PD mit AB-1005 im Vereinigten Königreich und Polen initiiert, Deutschland folgt demnächst und dauert in USA an / Parkinson-Krankheit ist zweithäufigste und am schnellsten wachsende neurodegenerative Erkrankung, die weltweit mehr als 10 Millionen Menschen betrifft.

Die Bayer AG hat Fortschritte bei zwei potenziellen Therapien gegen Parkinson erzielt. Ein erster Teilnehmer wurde in die zulassungsrelevante Phase-III-Studie, exPDite-2, mit dem Zelltherapiekandidaten Bemdaneprocel, aufgenommen. Daneben wurden die ersten europäischen Teilnehmer in der REGENERATE-PD-Studie, einer Phase-II-Studie mit dem Gentherapiekandidaten AB-1005, randomisiert. Beide Therapien konzentrieren sich auf die Behandlung der mittelschweren Parkinson-Krankheit und werden in Zusammenarbeit mit zwei hundertprozentigen, unabhängig betriebenen Tochtergesellschaften von Bayer entwickelt. BlueRock Therapeutics LP (Bemdaneprocel) beziehungsweise AskBio Inc. (AB-1005).

„Unser kombinierter Ansatz für die Entwicklung von Zell- und Gentherapien zur Bekämpfung der Parkinson-Krankheit verdeutlicht unsere Strategie, die Chancen für Patienten zu maximieren, die zu lange auf neue Therapien gewartet haben, und ihnen somit neue Hoffnung zu schenken,“ sagte Christian Rommel, Leiter der Forschung und Entwicklung der Pharmadivision von Bayer. „Es motiviert uns, Spitzenreiter bei der Entwicklung krankheitsmodifizierender Therapien für Parkinson-Patienten zu sein und damit potenziell ihr Leben erheblich zu verbessern.“

Bayer setzt weltweit Standards in der Entwicklung, Herstellung und Vermarktung sowohl von Zell- als auch Gentherapien. Dies gelingt durch einen integrierten Ansatz, der die gesamte Bandbreite von der Forschung bis zur Produktion abdeckt und modernste Produktionsstätten auf der ganzen Welt umfasst.

„Die Parkinson-Krankheit ist durch den Verlust von dopaminproduzierenden Zellen im Gehirn gekennzeichnet, wodurch es zu motorischen Beeinträchtigungen kommt,“ sagte Gabi Belfort, MD, PhD, Senior Vice President und Produktleiter für Bemdaneprocel bei BlueRock Therapeutics. „Bemdaneprocel zielt darauf ab, diese verloren gegangenen Zellen durch neue dopaminproduzierende Neuronen zu ersetzen, und wir freuen uns, dass die zulassungsrelevante Phase-III-Studie exPDite-2 zur Untersuchung dieses Ansatzes nun gestartet ist.“

„Wir sind der Überzeugung, dass es einen erheblichen Bedarf an neuroregenerativen Therapien bei Parkinson gibt, und AskBio ist bestrebt, das Potenzial der experimentellen Gentherapie AB-1005 zur Behandlung dieser schweren, fortschreitenden chronischen Erkrankung zu erforschen,“ sagte Adrian Kells, PhD, Senior Vice President und Produktleiter für Parkinson und MSA bei AskBio. „Wir freuen uns, die Fortschritte unserer REGENERATE-PD-Studie in Europa bekannt zu geben. Dies ist ein wichtiger Fortschritt für Patienten und die medizinische Gemeinschaft.“

Bemdaneprocel und AB-1005 sind Zell- beziehungsweise Gentherapieandidaten in der Entwicklung, welche bislang von keiner Zulassungsbehörde eine Marktzulassung erhalten haben und deren Wirksamkeit und Sicherheit noch nicht vollständig nachgewiesen oder bewertet wurde.

Über die Parkinson-Krankheit

Die Parkinson-Krankheit ist eine fortschreitende neurodegenerative Erkrankung, die den Alltag Betroffener deutlich beeinträchtigt. Bei der Parkinson-Krankheit führt das Absterben von Dopamin-produzierenden Nervenzellen im Gehirn zu einem fortschreitenden Verlust der motorischen Funktion. Die Symptome umfassen Zittern (Tremor), Muskelsteifheit (Rigor) und verlangsamte Bewegung (Bradykinesie). Hinzu kommen nicht-motorische Symptome wie Fatigue und Energielosigkeit, Verdauungsprobleme und Depressionen. Typischerweise nehmen die Symptome im Krankheitsverlauf an Intensität zu und machen die Alltagsbewältigung zunehmend schwieriger. Die Prävalenz der Parkinson-Krankheit hat sich in den vergangenen 25 Jahren verdoppelt. Schätzungen zufolge leben heute weltweit mehr als 10 Millionen Menschen mit der Erkrankung, was sie zur zweithäufigsten neurodegenerativen Krankheit insgesamt sowie zur häufigsten Motorik-Störung macht. Derzeit gibt es keine Heilung und die aktuellen Behandlungsoptionen bieten keine ganzheitliche Symptomlinderung, weshalb neue Therapien erforderlich sind.

Über Bemdaneprocel

Bemdaneprocel (BRT-DA01) ist eine Zelltherapie in der klinischen Entwicklung, die die Dopamin-produzierenden Neuronen ersetzen soll, die bei der Parkinson-Krankheit verloren gehen. Diese dopaminergen Neurone werden aus pluripotenten Stammzellen (PSC) gewonnen, bei denen es sich um menschliche embryonale Stammzellen handelt. Sie werden im Rahmen einer Operation in das Gehirn eines Parkinson-Patienten implantiert. Nach der

Transplantation haben diese Zellen das Potenzial, neuronale Netzwerke, die durch die Parkinson-Krankheit zerstört wurden, zu regenerieren und motorische und nichtmotorische Funktionen bei Patienten wiederherzustellen. Im Jahr 2021 erhielt Bemdaneprocel von der FDA den „Fast-Track“-Status und 2024 den Status als „Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT)“. Die Daten der 12 Teilnehmer der Phase-I-Studie (exPDite), die 2024 auf dem „International Congress of Parkinson’s Disease and Movement Disorders (MDS)“ präsentiert wurden, zeigten, dass Bemdaneprocel gut vertragen wurde. Es traten keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse im Zusammenhang mit Bemdaneprocel 24 Monate nach der Operation auf. Darüber hinaus wurden ermutigende Trends bei den sekundären Endpunkten in Bezug auf motorische Beeinträchtigungen 24 Monate nach der Operation beobachtet. Die Teilnehmer werden weiter im Rahmen der Langzeit-Beobachtungsstudie überwacht. Bemdaneprocel wurde von keiner Gesundheitsbehörde zur Behandlung einer Krankheit genehmigt.

Über exPDite-2

exPDite-2 ist die erste zulassungsrelevante Phase-III-Studie für eine in Entwicklung befindliche allogene, pluripotente Stammzelltherapie zur Behandlung der Parkinson-Krankheit. Die Daten einer Phase-I-Studie mit 12 Teilnehmern zeigten, dass Bemdaneprocel, auch 24 Monate nach Operation, gut vertragen wird. Es traten keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse im Zusammenhang mit Bemdaneprocel auf. Darüber hinaus wurden ermutigende Trends bei sekundären Endpunkten in Bezug auf motorische Beeinträchtigungen 24 Monate nach der Operation beobachtet. Aufbauend auf diesen Ergebnissen ist exPDite-2 eine Doppelblindstudie, in der die Wirksamkeit, Sicherheit und Gesamtwirkung von Bemdaneprocel untersucht wird. In die Studie sollen etwa 102 Teilnehmer mit moderater Parkinson-Krankheit aufgenommen werden. Der primäre Endpunkt der Studie ist die Veränderung der Zeit im Vergleich zum Ausgangswert, den die Patienten im „ON“-Zustand ohne störende Dyskinesien, nach 78 Wochen, verbracht haben. Die Datenerhebung erfolgt mittels eines Patiententagebuchs und angepasst an einen 16-Stunden-Wachtag. Zusätzlich wird die Studie sekundäre Endpunkte abbilden, die der Erfassung objektiver Werte für Bewegung, Sicherheit und Verträglichkeit dienen, sowie Instrumente, die Aktivitäten des täglichen Lebens und die Lebensqualität erfassen. Informationen über die klinische Studie exPDite-2 sind unter clinicaltrials.gov (NCT06944522) oder unter bluerocktx.com zu finden.

Je nach Ergebnis soll diese Studie Teil eines umfassenden Datenpakets sein, um die regulatorischen Anträge auf Marktzulassung zu unterstützen.

Über AB-1005

AB-1005 ist eine Gentherapie in der Entwicklung auf der Grundlage eines adeno-assoziierten viralen Vektors des Serotyps 2 (AAV2), der das Transgen des humanen glial cell line-derived neurotrophic factor (GDNF) enthält, das eine stabile und kontinuierliche Expression von GDNF in lokalisierten Hirnregionen nach direkter neurochirurgischer Injektion mit MRT-überwachter konvektionsverstärkter Verabreichung ermöglicht. In prä-klinischen Studien

förderte GDNF das Überleben und die morphologische Differenzierung dopaminerger Neuronen. Rekombinantes GDNF wird seit langem als potenzielles Mittel zur Behandlung von Krankheiten wie Parkinson untersucht, die durch eine fortschreitende Degeneration der dopaminergen Neuronen des Mittelhirns gekennzeichnet sind. Durch eine Kombination aus der in Entwicklung befindlichen Gentherapie mit einem innovativen neurochirurgischen Ansatz kann man nun die GDNF-Hypothese bei Parkinson testen, indem man diesen neurotrophen Faktor in einer möglicherweise klinisch relevanteren Art und Weise zu den degenerierenden nigrostriatalen Neuronen bringt.

Über REGENERATE-PD

REGENERATE-PD ist eine randomisierte, doppelt verblindete Phase-II-Studie, die die Wirksamkeit und Sicherheit von intraputaminalem AB-1005 bei der Behandlung von Erwachsenen (45-75 Jahre) mit Morbus Parkinson im mittleren Stadium untersucht. An der Studie werden schätzungsweise 87 Probanden teilnehmen. Die Studienzentren befinden sich in den USA, Deutschland, Polen, und Großbritannien. Weitere Informationen über die klinische Studie REGENERATE-PD sind unter clinicaltrials.gov (NCT06285643) oder unter askbio.com zu finden.

Über Bayer

Bayer ist ein weltweit tätiges Unternehmen mit Kernkompetenzen in den Life-Science-Bereichen Gesundheit und Ernährung. Getreu seiner Mission „Health for all, Hunger for none“ möchte das Unternehmen mit seinen Produkten und Dienstleistungen 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 2024 erzielte der Konzern mit rund 93.000 Beschäftigten einen Umsatz von 46,6 Milliarden Euro. Die Ausgaben für Forschung und Entwicklung beliefen sich auf 6,2 Milliarden Euro.