

BlueRock's neuronale Stammzelltherapie für Parkinson-Krankheit ist erste mit positiven Ergebnissen in klinischer Phase-I-Studie

Entwicklungskandidat Bemdaneprocel (BRT-DA01) wurde von allen 12 Patienten ohne größere Sicherheitsprobleme ein Jahr lang gut vertragen / Auswertung sekundärer Endpunkte bestätigte die Durchführbarkeit der Zelltransplantation und lieferte wichtige Informationen zum Überleben und Heranwachsen der Zellen / Klinische Phase-II-Studie soll im ersten Halbjahr 2024 mit Rekrutierung von Patienten beginnen / Detaillierte Phase-I-Studiendaten zu primären und sekundären Endpunkten werden auf dem Internationalen Kongress für Parkinson-Krankheit und Bewegungsstörungen (Parkinson's Disease and Movement Disorders, 27.-31. August, 2023) in Kopenhagen vorgestellt.

Die Bayer AG und BlueRock Therapeutics LP, ein Unternehmen für Zelltherapie im klinischen Stadium und eine hundertprozentige, unabhängig betriebene Tochtergesellschaft von Bayer, gaben heute positive Ergebnisse einer klinischen Phase-I-Studie mit Entwicklungskandidat Bemdaneprocel (BRT-DA01) bekannt. Dabei handelt es sich um eine potenzielle erste Zelltherapie ihrer Klasse für die Parkinson-Krankheit. Die Studie zeigte, dass Bemdaneprocel bis dato von allen 12 Patienten der Studie gut vertragen wurde und es zu keinen größeren Sicherheitsereignissen kam. Darüber hinaus belegte eine Auswertung der sekundären Endpunkte der Studie die Durchführbarkeit der Zelltransplantation sowie das Überleben und Heranwachsen der Zellen im Gehirn über den Zeitraum von 12 Monaten. Basierend auf diesen Ergebnissen wurde mit der Planung einer Phase-II-Studie begonnen, deren Patientenrekrutierung voraussichtlich im ersten Halbjahr 2024 startet.

„Wir haben es uns zur Aufgabe gemacht, die Möglichkeiten der Zelltherapie mit dem Ziel zu nutzen, Menschen mit Parkinson zu helfen. Sie sollen die Kontrolle über ihr Leben zurückzugewinnen, indem die Funktionen des Gehirns wieder hergestellt werden, die durch die Krankheit verloren wurden“, sagte Ahmed Enayetallah, Senior Vice President und Entwicklungsleiter von BlueRock Therapeutics. „Das Sicherheitsprofil von Bemdaneprocel ist vielversprechend und zusammen mit den ersten Hinweisen auf das Überleben und Heranwachsen der Zellen stellen diese Ergebnisse einen wichtigen Meilenstein in der Entwicklung einer potenziellen neuen Therapie für Patienten mit dieser Krankheit dar. Diese Topline-Daten bilden ein starkes Fundament für den Beginn der nächsten Studienphase und wir freuen uns darauf, dieses klinische Programm voranzutreiben.“

Die Parkinson-Krankheit ist eine fortschreitende neurodegenerative Erkrankung, die durch eine Schädigung der Nervenzellen im Gehirn verursacht wird, welche zu verringerten Dopaminspiegeln führt. Schätzungen zufolge haben die Patienten zum Zeitpunkt der Diagnose bereits 50–80 % ihrer dopaminergen Neuronen verloren. Der Verlust dieser Neuronen führt zu einem fortschreitenden Verlust der motorischen Funktion und zu Symptomen wie Zittern, Muskelsteifheit und verlangsamte Bewegung (Bradykinesie). Nach Angaben der Parkinson-Stiftung leiden weltweit mehr als 10

Millionen Menschen an der Parkinson-Krankheit, wobei etwa eine Million in den Vereinigten Staaten lebt. Es gibt keine Heilung und die Wirksamkeit aktueller Behandlungen lässt mit der Zeit nach.

Bemdaneprocel (BRT-DA01) ist eine Therapie in der Erprobungsphase bestehend aus Dopamin-produzierenden Neuronen, die aus pluripotenten Stammzellen gewonnen werden. Sie werden chirurgisch 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 ändern, in der Hoffnung, bei den Patienten motorische und nichtmotorische Funktionen wieder herzustellen.

„Bei Bayer setzen wir uns dafür ein, Zell- und Gentherapie-Innovationen für die Parkinson-Krankheit voranzubringen. Für diese neurodegenerative Erkrankung mit schwerwiegenden Auswirkungen auf die Lebensqualität der Menschen gibt es derzeit keine Heilung und nur sehr begrenzte Behandlungsoptionen“, sagte Christian Rommel, Mitglied des Executive Committee der Pharmaceuticals Division von Bayer und Leiter Forschung und Entwicklung. „Das positive Ergebnis unserer ersten Zelltherapie-Studie für Parkinson ist vielversprechend, nicht nur für das Bemdaneprocel-Entwicklungsprogramm, sondern auch für unsere gesamte Plattform pluripotenter Stammzellen. Weiterführende Untersuchungen in größeren Patientengruppen sind der nächste Schritt.“

Detaillierte Phase-I-Studiendaten zu primären und sekundären Endpunkten werden auf dem Internationalen Kongress für Parkinson-Krankheit und Bewegungsstörungen (International Conference for Parkinson's Disease and Movement Disorders) vom 27. bis 31. August, 2023, in Kopenhagen vorgestellt.

Über die Phase-I-Studie zu Bemdaneprocel (BRT-DA01)

Das primäre Ziel der Phase-I-Studie ist es, die Sicherheit und Verträglichkeit einer Transplantation von Bemdaneprocel (BRT-DA01) ein Jahr nach der Transplantation zu bewerten. Die sekundären Ziele der Studie bestehen darin, Hinweise für das Überleben transplantierte Zellen und motorische Effekte ein und zwei Jahre nach der Transplantation zu zeigen, sowie die fortwährende Evaluierung der Sicherheit und Verträglichkeit der Therapie zwei Jahre nach der Transplantation und die Durchführbarkeit ihrer Transplantation zu beurteilen.

Die Operationen zur Transplantation wurden von Dr. Viviane Tabar, MD, Leiterin der Abteilung für Neurochirurgie am Memorial Sloan Kettering Cancer Center, und Dr. Andres Lozano, MD, Ph.D., FRCS, FRSC, FCAHS, Vorsitzender der Abteilung für Neurochirurgie an der University of Toronto (UoT) durchgeführt. Die Teilnehmer wurden an klinischen Standorten von Dr. Harini Sarva, MD, von Weill Cornell Medicine, Dr. Claire Henchcliffe, MD, D.Phil., FAAN, FANA von der University of California, Irvine, und Dr. Alfonso Fasano, MD, PhD, Lehrstuhl für Neuromodulation und multidisziplinäre Versorgung am University Health Network (UHN) und UoT, betreut.