

27.08.2024 – 09:01 Uhr

Vaderis kündigt positive klinische Studie zum Nachweis des Konzepts bei HHT an

Basel, Schweiz (ots/PRNewswire) -

- Studie liefert positive Ergebnisse in der ersten von der Industrie geleiteten klinischen Studie zur hereditären Hämorrhagischen Telangiectasie (HHT)
- VAD044 zeigte vorteilhafte Sicherheit und Verträglichkeit sowie eine explorative Wirksamkeit bei den wichtigsten Manifestationen der Krankheit
- Laufende Open Label Extension (OLE)-Daten nach 6 Monaten zeigen konsistente Sicherheit, Verträglichkeit und anhaltende Verbesserung der Blutungsparameter

Vaderis Therapeutics AG (Vaderis), ein Biotechnologieunternehmen in der klinischen Phase, das sich auf die Entwicklung von Behandlungen für seltene Krankheiten konzentriert, die mit Gefäßfehlbildungen einhergehen, gibt heute positive Ergebnisse seiner randomisierten, doppelblinden, dosisfindenden, placebokontrollierten klinischen Proof-of-Concept (POC)-Studie bei Patienten mit HHT bekannt.

HHT, eine Orphan-Krankheit, ist die zweithäufigste vererbte Blutungsstörung der Welt und führt häufig zu einer schweren Krankheitslast, einer reduzierten Lebenserwartung und einer beeinträchtigten Lebensqualität. Trotzdem gibt es weltweit noch keine zugelassene Behandlung für HHT. Vaderis entwickelt VAD044, einen einmal täglich oral zu verabreichenden allosterischen AKT-Inhibitor, die erste neuartige Therapie, die speziell für die Behandlung von HHT vorgesehen ist.

In dieser kontrollierten Doppelblindstudie wurden fünfundsiebzig Patienten in den USA und Europa randomisiert und erhielten 12 Wochen lang entweder Placebo, 30 mg oder 40 mg VAD044. Die Sicherheit war der primäre Endpunkt, und VAD044 war sowohl hinsichtlich der Häufigkeit als auch des Schweregrads von unerwünschten Ereignissen (AEs) außerhalb des Zielbereichs mit Placebo vergleichbar. Die mit der Hemmung des AKT-Signalwegs verbundenen Nebenwirkungen waren zumeist leicht, vorübergehend und klangen mit dem Studienmedikament ab.

Fast alle HHT-Patienten leiden unter unvorhersehbaren, oft häufigen und schwächenden Epistaxis, die als bestes Maß für die gesamte HHT-Krankheitsaktivität und als Schlüsselmaß für die Krankheitslast gilt. In dieser Studie zeigte VAD044 eine Dosisreaktion auf sekundäre und explorative Wirksamkeitsendpunkte bei HHT, einschließlich wichtiger Epistaxis-Endpunkte. Am Ende des 12-wöchigen Behandlungszeitraums kam es bei den Patienten, die die 40mg-Dosis erhielten, zu einer klinisch bedeutenden Verbesserung der Epistaxishäufigkeit, der Dauer und der epistaxisfreien Tage. Auch eine Rückbildung von HHT-assoziierten vaskulären Läsionen wurde beobachtet.

Nach der 12-wöchigen randomisierten Doppelblindphase wurden Patienten aus ausgewählten Studienzentren in eine 12-monatige OLE-Studie aufgenommen, in der sie alle bis zu 40 mg VAD044 täglich erhalten. Die Zwischenergebnisse von neunundzwanzig Patienten nach sechs Monaten zeigen weiterhin ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil mit weiteren Verbesserungen bei Epistaxis.

Dr. Hanny Al-Samkari, Peggy S. Blitz Stiftungslehrstuhl für Hämatologie/Onkologie am Massachusetts General Hospital und außerordentlicher Professor für Medizin an der Harvard Medical School (USA), Co-Primärprüfer in der VAD044 POC-Studie, kommentierte: „In dieser bahnbrechenden klinischen Studie sehen wir bereits nach 12 Wochen erhebliche und klinisch bedeutsame dosisabhängige Verbesserungen der HHT-Krankheitsaktivität mit dem einmal täglich verabreichten VAD044, insbesondere gemessen an den Epistaxisparametern.“

Dr. Hans-Jurgen Mager, Pulmologe und Leiter des niederländischen Referenzzentrums für HHT am St. Antonius-Hospital in Utrecht (NL), ebenfalls Co-Primärprüfer in der VAD044 POC-Studie, fügte hinzu: „Diese aufregenden Ergebnisse haben die Bewertung der Langzeitbehandlung von HHT-Patienten mit VAD044 unterstützt. Wir haben die POC-Studie um eine offene Verlängerungsphase erweitert und sehen bereits jetzt, dass die Patienten nach einer sechsmonatigen kontinuierlichen Behandlung mit VAD044 weitere Verbesserungen bei allen Epistaxis-Endpunkten im Vergleich zu den Ergebnissen nach 12 Wochen erfahren. Es scheint, dass die Wirkung von VAD044 auf die HHT-Krankheitsaktivität nach 12 Wochen noch nicht ihren Höhepunkt erreicht hat und dass sich die Patienten im Laufe der Zeit weiter verbessern, ohne einen unerwarteten Preis in Bezug auf Sicherheit oder Verträglichkeit zu zahlen.“

Nicholas Benedict, CEO und Mitbegründer von Vaderis Therapeutics, kommentierte: „Die Begeisterung über die Ergebnisse des ersten 12-wöchigen doppelblinden Teils dieser Studie wird durch die anhaltenden Verbesserungen, die die Patienten nach 6 Monaten erfahren haben, noch verstärkt. Die hervorragende Zusammenarbeit mit Patienten- und Ärzteorganisationen wie CureHHT war ein Eckpfeiler für die erfolgreiche Durchführung dieser bahnbrechenden Studie, die in einem viel kürzeren Zeitrahmen als geplant durchgeführt werden konnte. Vaderis arbeitet derzeit mit den wichtigsten Gesundheitsbehörden zusammen, um die entscheidende Phase der Entwicklung von VAD044 bei HHT zu planen.“

Informationen zu Vaderis

Vaderis ist ein Biotech-Unternehmen in der klinischen Phase, das Therapien für seltene und seltene Krankheiten im Zusammenhang mit Gefäßfehlbildungen entwickelt. Es gibt eine beträchtliche Anzahl von schwächenden und weitgehend unbehandelten seltenen Krankheiten wie HHT (Hereditäre Hämorrhagische Telangiektasie), bei denen die Patienten eine Überaktivierung von AKT haben, die durch vorgelagerte genetische Mutationen ausgelöst wird und zu einer Gefäßüberwucherung führt. Vaderis entwickelt VAD044, einen täglich einzunehmenden, allosterischen AKT-Inhibitor, der in einer klinischen Proof-of-Concept-Studie bei HHT-Patienten untersucht wurde und sich derzeit in einer 12-monatigen Open-Label-Erweiterung befindet. Es gibt keine zugelassenen Medikamente zur Behandlung von HHT, und Vaderis möchte das erste Unternehmen sein, das ein Medikament zur Behandlung von HHT und anderen mit Gefäßfehlbildungen verbundenen Krankheiten entwickelt.

Logo - https://mma.prnewswire.com/media/1880791/Vaderis_Therapeutics_Logo.jpg

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte www.vaderis.com;

View original content: <https://www.prnewswire.com/news-releases/vaderis-kündigt-positive-klinische-studie-zum-nachweis-des-konzepts-bei-hht-an-302230704.html>

Pressekontakt:

Nicholas Benedict; info@vaderis.com; +41 79 592 2005

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100091631/100922356> abgerufen werden.