

Basel, 16. Januar 2015

Roche übernimmt Trophos und erweitert Engagement bei neuromuskulären Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf

- **Resultate einer entscheidenden Phase-II-Studie zeigen das Potenzial von Olesoxim für die Behandlung von Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA)**
- **Zulassungsbehörden in der USA und in der EU haben für Olesoxim den Status eines Arzneimittels für eine seltene Krankheit gewährt**

Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) gab heute eine Vereinbarung zur Übernahme von Trophos, eines biotechnologischen Unternehmens in privater Hand mit Sitz in Marseille, Frankreich, bekannt. Mit Hilfe einer eigenen Technologieplattform hat Trophos den Wirkstoff Olesoxim (TRO19622) entdeckt, der zur Behandlung von spinaler Muskelatrophie (SMA) entwickelt wird – einer seltenen und behindernden neuromuskulären Erbkrankheit, die am häufigsten bei Kindern diagnostiziert wird. Die Resultate einer entscheidenden klinischen Phase-II-Studie mit Olesoxim bei SMA zeigten einen positiven Effekt auf die Erhaltung der neuromuskulären Funktion bei SMA Typ II und SMA Typ III ohne Gehfähigkeit sowie eine Reduktion der medizinischen Komplikationen, die mit der Erkrankung verbunden sind. Diese Daten wurden zum ersten Mal im April 2014 Jahrestagung der American Academy of Neurology (AAN) in Philadelphia, PA, vorgestellt.

„Diese Übernahme unterstreicht das Engagement von Roche, neue Medikamente zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie zu entwickeln, einer schweren Krankheit, für die keine wirksame Therapie verfügbar ist“, so Sandra Horning, Chief Medical Officer und Leiterin der globalen Produktentwicklung von Roche. „Wir werden – aufbauend auf dem Erfolg von Trophos und der französischen Gesellschaft für Muskeldystrophie – die Entwicklung von Olesoxim so schnell wie möglich weiter vorantreiben, um das Prüfmedikament Patienten mit dieser verheerenden Erkrankung zur Verfügung zu stellen.“

Gemäss der Vereinbarung werden Trophos und dessen Gesellschafter von Roche eine Sofortzahlung von 120 Millionen Euro in bar sowie weitere Zahlungen von bis zu 350 Millionen Euro bei Erreichen bestimmter und im Voraus definierter Meilensteine erhalten.

Christine Placet, CEO von Trophos, erklärt: „SMA ist eine schwere Erkrankung mit erheblicher Beeinträchtigung des Alltags der Patienten und ihrer Angehörigen, denen bisher nur eine unterstützende Behandlung zur Verfügung steht. Wir sind stolz darauf, dass dieses Arzneimittel weiterentwickelt wird – mit dem Ziel, möglicherweise das erste Medikament für SMA zu werden. Dies ist eine Anerkennung für die 16-jährige Arbeit der Teams von Trophos und ihrer Unterstützer.“

Über spinale Muskelatrophie (SMA)

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine stark einschränkende und behindernde neuromuskuläre Erbkrankheit, die durch fortschreitende Muskelschwäche und den Verlust der motorischen Funktion charakterisiert ist. SMA betrifft die motorischen Nervenfasern der willkürlichen Muskulatur, die für Aktivitäten wie Krabbeln, Gehen, Kontrolle der Kopf- und Halsbewegung und Schlucken benutzt wird. Die Erkrankung entwickelt sich typischerweise bereits im frühen Kindesalter und ist die häufigste genetische Ursache der Säuglingssterblichkeit¹. Spinale Muskelatrophie stellt eine der häufigsten seltenen Krankheiten dar: Eines von 6000 bis 10 000 Kindern ist davon betroffen. SMA ist eine autosomal-rezessive Erbkrankheit, die durch einen Funktionsverlust des Gens *Survival Motor Neuron 1 (SMN1)* verursacht wird. Dadurch kommt es zu einem Mangel an SMN-Protein, fortschreitendem Verfall von Nervenzellen im Rückenmark und dem Verlust von motorischen Neuronen. Das für SMA verantwortliche mutierte *SMN1*-Gen tragen bis zu 20 Millionen potenzielle Eltern in den USA und in der Europäischen Union in sich. Die meisten wissen nicht, dass sie Träger dieser Genmutation sind.

Patienten mit SMA werden nach Schweregrad, dem höchsten Grad der erreichten motorischen Funktion sowie dem Zeitpunkt des Auftretens der Erkrankung einer von vier Kategorien zugeordnet:

Typ I: Die schwerste Form von SMA. Die Symptome beginnen meist innerhalb der ersten sechs Lebensmonate. Die betroffenen Kinder zeigen einen geringen Muskeltonus, eine ausgeprägte Muskelschwäche und eingeschränkte Bewegungsfähigkeit. Säuglinge mit SMA Typ I lernen nie das Sitzen. Sie haben Probleme mit einfachen Aufgaben wie Hochhalten des Kopfs, Saugen und Schlucken. Die zunehmende Schwäche der Muskulatur des Brustkorbs erhöht das Risiko für Atemwegsinfektionen und verzögert das Lungenwachstum. Säuglinge mit SMA Typ I tragen ein sehr hohes Risiko für eine irreversible Abnahme der Lungenkapazität. SMA Typ I ist mit einer hohen Sterblichkeitsrate verbunden: Über die Hälfte der betroffenen Kinder überleben das zweite Lebensjahr nicht.

Typ II: Intermediäre Form von SMA. Die Symptome beginnen im Alter von sechs bis 18 Monaten. Patienten mit SMA Typ II lernen in der Regel das Sitzen, können jedoch nicht selbstständig

gehen, leiden an schweren und fortschreitenden motorischen Behinderungen und müssen oft lebenslang rund um die Uhr betreut werden. Bei Patienten mit SMA Typ II entwickelt sich oft eine starke Krümmung der Wirbelsäule (Skoliose) und Schwäche der Brustmuskulatur mit hohem Risiko für schwere Atemwegsinfektionen. Die Schwere und Progression der Erkrankung ist von Patient zu Patient unterschiedlich, und die Lebenserwartung reicht vom frühen Kindesalter bis ins Erwachsenenalter.

Typ III: Die Symptome wie Gehprobleme, Muskelschwäche und erhöhtes Risiko für Atemwegsinfektionen treten in der Regel zum ersten Mal zwischen dem Alter von 18 Monaten und dem jungen Erwachsenenalter auf. Sehr viele Patienten mit SMA Type III verlieren die Gehfähigkeit und entwickeln oft eine schwere Skoliose und andere orthopädische Probleme. Viele der Betroffenen sind ab dem Alter von rund 40 Jahren an den Rollstuhl angewiesen.

Typ IV: Erwachsene Form der SMA. Diese seltenere Form von spinaler Muskelatrophie betrifft Erwachsene und ist durch ein langsames Fortschreiten der Symptome, die vor allem die Gehfähigkeit betreffen, charakterisiert. Die Symptome entwickeln sich typischerweise nach dem Alter von 35 Jahren, und die Patienten haben eine normale Lebenserwartung.

Über Olesoxim

Olesoxim (TRO19622) ist ein Prüfmedikament zum Schutz und zur Erhaltung der motorischen Nervenzellen. Die Resultate einer entscheidenden Phase-II-Studie mit Olesoxim bei Patienten mit SMA Typ II und SMA Typ III ohne Gehfähigkeit im Alter von drei bis 25 Jahren wurden erstmals an der 66. Jahrestagung der American Academy of Neurology (AAN) im April 2014 in Philadelphia, Pennsylvania, USA, vorgestellt. Das Entwicklungsprogramm von Trophos wurde von der französischen Gesellschaft für Muskeldystrophie unterstützt. Olesoxim wurde von der Europäischen Arzneimittel-Agentur als „Orphan Medicinal Product“ (Arzneimittel für eine seltene Krankheit) für die Behandlung von SMA ausgewiesen und erhielt auch von der amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA (Food and Drug Administration) den Status des Arzneimittels für eine seltene Krankheit.

Über Trophos

Trophos ist ein pharmazeutisches Unternehmen, das innovative Therapeutika im klinischen Stadium entwickelt. Das Unternehmen verfügt über eine eigene chemische Entwicklungsplattform auf der Basis von Cholesterinoxim. Die auf Mitochondrien abzielenden Substanzen von Trophos fördern die Funktion und das Überleben von gestressten Zellen, indem sie den sogenannten mitochondrialen Permeabilitätsübergang verhindern, der eine entscheidende Rolle für das Absterben oder Überleben von Zellen spielt.

Trophos wurde 1999 gegründet und hat ihren Sitz in Marseille, Frankreich. Das Unternehmen wird von den privaten Beteiligungsfonds ACG Management, OTC Aggregator, Amundi Private Equity Funds, Turenne Capital, Sofipaca und Vesale Partners sowie der französischen Gesellschaft für Muskeldystrophie (AFM) unterstützt.

Über Roche

Roche mit Hauptsitz in Basel, Schweiz, ist eines der führenden Unternehmen im forschungsorientierten Gesundheitswesen. Es vereint die Stärken der beiden Geschäftsbereiche Pharma und Diagnostics und entwickelt als weltweit grösstes Biotech-Unternehmen differenzierte Medikamente für die Onkologie, Immunologie, Infektionskrankheiten, Augenheilkunde und Neurowissenschaften. Roche ist auch der weltweit bedeutendste Anbieter von Produkten der *In-vitro*-Diagnostik und gewebebasierten Krebstests und ein Pionier im Diabetesmanagement. Medikamente und Diagnostika, welche die Gesundheit, die Lebensqualität und die Überlebenschancen von Patienten entscheidend verbessern, sind Ziel der Personalisierten Medizin, einem zentralen strategischen Ansatz von Roche. Seit der Gründung des Unternehmens im Jahr 1896 hat Roche über einen Zeitraum von mehr als hundert Jahren wichtige Beiträge zur Gesundheit in der Welt geleistet. Auf der Liste der unentbehrlichen Arzneimittel der Weltgesundheitsorganisation stehen 24 von Roche entwickelte Medikamente, darunter lebensrettende Antibiotika, Malariamittel und Chemotherapeutika.

Die Roche-Gruppe beschäftigte 2013 weltweit über 85 000 Mitarbeitende, investierte 8,7 Milliarden Schweizer Franken in Forschung und Entwicklung und erzielte einen Umsatz von 46,8 Milliarden Schweizer Franken. Genentech in den USA gehört vollständig zur Roche-Gruppe. Roche ist Mehrheitsaktionär von Chugai Pharmaceutical, Japan. Weitere Informationen finden Sie unter www.roche.com.

Die Transaktion unterliegt der üblichen behördlichen Freigabe. Dazu gehören auch die Genehmigung der Auslandsinvestition durch das französische Ministerium für Wirtschaft sowie der Ablauf der anwendbaren Hart-Scott-Rodino-Wartefrist. Mit dem Abschluss der Transaktion wird im ersten Quartal 2015 gerechnet.

Medienstelle Roche-Gruppe

Telefon: +41 -61 688 8888 / E-Mail: roche.mediarelations@roche.com

- Nicolas Dunant (Leiter)
- Ulrike Engels-Lange
- Štěpán Kráčala
- Claudia Schmitt
- Nicole Rüppel
- Nina Schwab-Hautzinger

ⁱ Society for Maternal-Fetal Medicine "Screening for spinal muscular atrophy not cost effective, study finds." Science Daily, letzter Zugriff 10. Dez 2014