

UCB Media Room: Positieve Fase 3-resultaten voor rozanolixizumab bij gegeneraliseerde myasthenia gravis



[Bericht vertalen naar het Nederlands](#) | [Engels nooit vertalen](#)

VAN

UCB Mediaruimte

Vr 10/12/2021 7:00



Aan:

- Vfb Persberichten



UCB kondigt positieve Fase 3-resultaten aan voor rozanolixizumab bij gegeneraliseerde myasthenia gravis

- Positieve topline resultaten van UCB MycarinG-onderzoek naar de werkzaamheid en veiligheid van rozanolixizumab bij patiënten met gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG)
- Studie voldeed aan primaire en alle secundaire eindpunten met statistische significantie
- Rozanolixizumab werd goed verdragen zonder nieuwe veiligheidssignalen
- UCB plant regelgevende indieningen voor rozanolixizumab in gMG vanaf Q3 2022

Brussel, België 10 december 2021 – 07:00 CET: Gereguleerde informatie – Voorwetenschap – UCB, een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf, heeft vandaag positieve topline-resultaten aangekondigd van de Fase 3 MycarinG-studie ¹ ter evaluatie van rozanolixizumab, een subcutaan (SC) geïnfuseerde monoklonale antilichaamtargeting de neonatale Fc-receptor (FcRn), versus placebo bij volwassenen met gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG).

Het onderzoek bereikte het primaire eindpunt, wat een statistisch significante en klinisch betekenisvolle verandering aantoont ten opzichte van baseline in de totale score van Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living (MG-ADL) op dag 43. Alle secundaire eindpunten werden ook statistisch significant bereikt.

Over het algemeen werd rozanolixizumab goed verdragen en werden er geen nieuwe veiligheidssignalen vastgesteld.

De veiligheid en werkzaamheid van rozanolixizumab zijn niet vastgesteld en het is door geen enkele regelgevende instantie wereldwijd goedgekeurd voor gebruik bij enige indicatie. De laatste fase 3-gegevens van de studie en aanvullende details zullen worden gepresenteerd tijdens een komende medische bijeenkomst in 2022.

Op basis van deze resultaten verwacht UCB vanaf het derde kwartaal van 2022 registraties bij de regelgevende instanties in de VS, de Europese Unie en Japan.

" De bemoedigende bevindingen van vandaag uit de MycarinG-studie tonen het potentieel van rozanolixizumab bij de behandeling van myasthenia gravis, en versterken verder de suggestie dat FcRn-remming een veelbelovende aanpak voor deze ziekte kan zijn ," verklaarde professor Vera Bril, MycarinG-onderzoekshoofdonderzoeker, hoogleraar Medicine (Neurology), University of Toronto, en directeur van de Neuromuscular Section, Division of Neurology, University of Toronto en University Health Network, Toronto, Canada.

Naast rozanolixizumab onderzoekt UCB ook of zijn ontwikkelingsgeneesmiddel zilucoplan, een peptideremmer van complementcomponent 5 (C5-remmer), patiëntwaarde kan bieden aan mensen met gMG. De voorlopige resultaten van de RAISE-studie van het bedrijf worden in de komende weken verwacht. De veiligheid en werkzaamheid van zilucoplan zijn niet vastgesteld en het is door geen enkele regelgevende instantie wereldwijd goedgekeurd voor gebruik bij enige indicatie.

"Voor de vele duizenden mensen die over de hele wereld met myasthenia gravis leven, kunnen de huidige behandelingsopties zeer beperkt zijn", zegt Samantha Masterson, Chief Executive Officer van de Myasthenia Gravis Foundation of America (MGFA). "Aangezien deze ziekte een breed scala aan symptomen veroorzaakt, waarvan sommige een dringende interventie of ziekenhuisopname vereisen, is er een grote behoefte aan nieuwe behandelingsopties die tegemoet kunnen komen aan de onvervulde behoeften van patiënten met myasthenia gravis."

UCB's portfoliobenadering van twee geneesmiddelen met verschillende maar potentieel complementaire werkingsmechanismen creëert een unieke kans voor UCB om keuze, flexibiliteit en impact te bieden aan patiënten en gezondheidswerkers, waardoor ze opties krijgen die het best passen bij hun individuele behoeften.

" We zijn enthousiast over deze positieve en klinisch betekenisvolle resultaten, die een cruciale stap voorwaarts markeren voor rozanolixizumab en het streven van UCB om gedifferentieerde oplossingen te leveren voor mensen met zeldzame ziekten, zoals myasthenia gravis ", aldus Iris Loew-Friedrich, Executive Vice-President en Chief Medical Officer bij UCB. " In lijn met onze ambitie om een portfolio van behandelingsopties te leveren die de behandelingservaring voor patiënten en artsen zouden kunnen verbeteren en vereenvoudigen, zetten we ons in om transformationele resultaten en ervaringen te bieden aan mensen in nood. We danken de MG-gemeenschap van harte voor hun voortdurende samenwerking en deelname aan dit onderzoek ."

Over gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG)

gMG is een zeldzame, chronische en onvoorspelbare auto-immuunziekte waarbij pathogene auto-antilichamen de synaptische transmissie op de neuromusculaire overgang kunnen

remmen door zich te richten op specifieke eiwitten op het postsynaptische membraan. Dit verstoort de manier waarop de zenuwen kunnen communiceren met spieren. gMG kan op elke leeftijd en in elk ras voorkomen, hoewel eerdere onderzoeken hebben aangetoond dat vrouwen vaker worden getroffen dan mannen.²

Myasthenia gravis is een zeldzame ziekte die bijna 200.000 patiënten in de VS, de EU en Japan treft.^{3,4} Mensen die leven met gMG kunnen verschillende symptomen ervaren, waaronder hangende oogleden, dubbel zien en moeite met slikken, kauwen en praten, evenals ernstige spierzwakte die kan leiden tot levensbedreigende zwakte van de ademhalingsspieren.⁵⁻⁸

Over de rozanolixizumab MycarinG studie⁹

De MycarinG-studie (NCT03971422) is een multicenter, fase 3, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde studie ter evaluatie van de werkzaamheid en veiligheid van rozanolixizumab bij volwassen patiënten met gMG, met een open-label extensie.

Het primaire eindpunt voor de MycarinG-studie is verandering in de Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living Profile (MG-ADL)-score, een door de patiënt gerapporteerde schaal met acht items die is ontwikkeld om MG-symptomen en hun effecten op dagelijkse activiteiten te beoordelen. Secundaire eindpunten zijn onder meer responspercentages, veranderingen in de samengestelde Myasthenia Gravis-score (MGC), de kwantitatieve MG-score (QMG), door de patiënt gerapporteerde uitkomsten en bijwerkingen (AE's).

Ga voor meer informatie over de proef naar <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03971422>.

Over de zilucoplan RAISE-studie¹⁰

De RAISE-studie (NCT04115293) is een multicenter, fase 3, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde studie om de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van zilucoplan bij patiënten met gMG te bevestigen. Patiënten zullen worden gerandomiseerd in een verhouding van 1:1 om gedurende 12 weken dagelijkse subcutane (SC) doses zilucoplan of placebo te krijgen.

Het primaire eindpunt voor het RAISE-onderzoek is de verandering van baseline tot week 12 in de Myasthenia Gravis-Activities of Daily Living (MG-ADL)-score. Secundaire eindpunten zijn onder meer verandering in de Quantitative Myasthenia Gravis (QMG)-score, de Myasthenia Gravis Composite (MGC) en de Myasthenia Gravis Quality of Life 15 herzien (MG-QoL15r) vanaf baseline tot week 12; het aandeel dat reddingstherapie nodig heeft; de proportie met minimale symptoomexpressie (MSE) (gedefinieerd als MG-ADL van 0 of 1), de proportie met een 3-punts afname in MG-ADL en het aandeel met een ≥ 5 -punts afname in QMG, allemaal gemeten op Week 12.

Ga voor meer informatie over de proef naar <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04115293>.

Over Rozanolixizumab

Rozanolixizumab is een subcutaan toegediend, gehumaniseerd monoklonaal antilichaam dat zich specifiek, met hoge affiniteit, bindt aan de humane neonatale Fc-receptor (FcRn). Het is

ontworpen om de interactie van FcRn en Immunoglobuline G (IgG) te blokkeren, het katabolisme van antilichamen te versnellen en de concentratie van pathogene IgG-auto-antilichamen te verminderen.^{11,12}

Rozanolixizumab is in klinische ontwikkeling met als doel het leven te verbeteren van mensen met pathogene IgG-auto-antilichaam-gedreven auto-immuunziekten, waaronder gMG, primaire immuuntrombocytopenie (ITP), myeline-oligodendrocyt-glycoproteïne-antilichaam-geassocieerde ziekte (MOG-AD) en auto-immuun encefalitis (AIE) door de verwijdering van pathogene IgG-auto-antilichamen te stimuleren.

De veiligheid en werkzaamheid van rozanolixizumab zijn niet vastgesteld en het is door geen enkele regelgevende instantie wereldwijd goedgekeurd voor gebruik bij enige indicatie.

Over Zilucoplan

Zilucoplan is een eenmaal daags toegediende SC-peptideremmer van complementcomponent 5 (C5-remmer) in klinische ontwikkeling door UCB in gMG. Topline-resultaten van de RAISE-studie, een multicenter, fase 3, gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde studie om de werkzaamheid, veiligheid en verdraagbaarheid van zilucoplan bij proefpersonen met gMG te bevestigen, worden verwacht in H1 2022.

Andere indicaties die mogelijk door zilucoplan kunnen worden aangepakt, zijn onder meer amyotrofische laterale sclerose (ALS) en andere op weefsel gebaseerde complement-gemedieerde aandoeningen met een grote onvervulde medische behoefte.

Zilucoplan werd geselecteerd als een van de eerste geneesmiddelen die werd getest in een multi-center ALS-platformstudie, gesponsord door het Sean M. Healey & AMG Center for ALS in het Massachusetts General Hospital, Boston, MA.

De veiligheid en werkzaamheid van zilucoplan zijn niet vastgesteld en het is momenteel door geen enkele regelgevende instantie wereldwijd goedgekeurd voor gebruik bij enige indicatie.

Over UCB bij zeldzame ziekten

Bij UCB zien we niet alleen patiënten of populatiegroottes, we zien ook mensen in nood. Door decennia van dienstverlening aan de neurologie- en immunologiegemeenschappen, hebben we levens verbeterd met krachtige medicijnen en door het sociale en emotionele welzijn van patiënten te verbeteren. Als voortzetting van ons erfgoed breiden we nu onze inspanningen uit om zeldzame neurologische en immunologische ziekten aan te pakken waar de huidige opties weinig hoop bieden, waaronder onderzoeksbehandelingen voor primaire ITP, gMG, MOG-AD en AIE.

Over UCB

UCB, Brussel, België (www.ucb.com) is een wereldwijd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toespitst op de ontdekking en ontwikkeling van innovatieve geneesmiddelen en oplossingen om het leven van mensen met ernstige ziekten van het immuunsysteem of het centrale zenuwstelsel te veranderen. Met meer dan 7.600 mensen in ongeveer 40 landen genereerde

UCB in 2020 een omzet van € 5,3 miljard. UCB is genoteerd op Euronext Brussel (symbool: UCB). Volg ons op Twitter: @UCB_news

Neem voor meer informatie contact op met UCB:

Merkcommunicatie

Jim Baxter
Zeldzame Ziekte Communicatie, UCB
T+32.2.473.78.85.01 jim.baxter@ucb.com

Bedrijfscommunicatie

Laurent Schots
Media Relations, UCB
T+32.2.559.92.64 Laurent.schots@ucb.com

Investeerdersrelaties

Antje Witte
Investor Relations, UCB
T +32.2.559.94.14 antje.witte@ucb.com

Toekomstgerichte verklaringen UCB

Dit persbericht kan toekomstgerichte verklaringen bevatten, met inbegrip van, maar niet beperkt tot, verklaringen met de woorden "gelooft", "anticipeert", "verwacht", "bedoelt", "plannen", "zoekt", "schat", "kan", "zal", "doorgaan" en soortgelijke uitdrukkingen. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn gebaseerd op huidige plannen, schattingen en overtuigingen van het management. Alle verklaringen, behalve verklaringen van historische feiten, zijn verklaringen die als toekomstgerichte verklaringen kunnen worden beschouwd, inclusief schattingen van inkomsten, operationele marges, kapitaaluitgaven, contanten, andere financiële informatie, verwachte juridische, arbitrage-, politieke, regelgevende of klinische resultaten of praktijken en andere dergelijke schattingen en resultaten. Dergelijke toekomstgerichte verklaringen zijn door hun aard geen garantie voor toekomstige prestaties en zijn onderhevig aan bekende en onbekende risico's, onzekerheden en veronderstellingen die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, financiële toestand, prestaties of verwezenlijkingen van UCB, of sectorresultaten, wezenlijk verschillen van die welke kunnen worden uitgedrukt of geïmpliceerd door dergelijke toekomstgerichte verklaringen in dit persbericht. Belangrijke factoren die tot dergelijke verschillen kunnen leiden, zijn onder meer: de wereldwijde verspreiding en impact van COVID-19, veranderingen in de algemene economische, zakelijke en concurrentievoorwaarden, het onvermogen om de nodige wettelijke goedkeuringen te verkrijgen of deze te verkrijgen tegen aanvaardbare voorwaarden of binnen de verwachte timing, kosten verband houden met onderzoek en ontwikkeling, veranderingen in de vooruitzichten voor producten in de pijplijn of in ontwikkeling door UCB, effecten van toekomstige rechterlijke beslissingen of overheidsonderzoeken, veiligheids-, kwaliteit-, gegevensintegriteit of fabricagekwesaties; mogelijke of daadwerkelijke inbreuken op de gegevensbeveiliging en gegevensprivacy, of verstoringen van onze informatietechnologiesystemen, vorderingen op het gebied van productaansprakelijkheid, betwistingen van octrooibeschermt voor producten of productkandidaten, concurrentie van andere producten, waaronder biosimilars, wijzigingen in wet- of regelgeving, wisselkoersschommelingen, wijzigingen of

onzekerheden in belastingwetten of de toepassing van dergelijke wetten, en het aannemen en behouden van haar werknemers. Er is geen garantie dat nieuwe productkandidaten ontdekt of geïdentificeerd zullen worden in de pijplijn, zullen leiden tot productgoedkeuring of dat nieuwe indicaties voor bestaande producten zullen worden ontwikkeld en goedgekeurd. De overgang van concept naar commercieel product is onzeker; preklinische resultaten bieden geen garantie voor de veiligheid en werkzaamheid van kandidaat-producten bij mensen. Dusver, de complexiteit van het menselijk lichaam kan niet worden gereproduceerd in computermodellen, celcultuursystemen of diermodellen. De duur van de timing voor het voltooiën van klinische onderzoeken en het verkrijgen van goedkeuring door de regelgevende instanties voor productmarketing is in het verleden gevarieerd en UCB verwacht in de toekomst vergelijkbare onvoorspelbaarheid. Producten of potentiële producten die het onderwerp zijn van partnerschappen, joint ventures of licentiesamenwerkingen kunnen onderhevig zijn aan geschillen tussen de partners of kunnen niet zo veilig, effectief of commercieel succesvol blijken te zijn als UCB bij het begin van een dergelijk partnerschap misschien had gedacht. De inspanningen van UCB om andere producten of bedrijven te verwerven en om de activiteiten van dergelijke overgenomen bedrijven te integreren, zijn mogelijk niet zo succesvol als UCB op het moment van overname had gedacht. Ook kunnen UCB of anderen de veiligheid ontdekken, bijwerkingen of fabricageproblemen met zijn producten en/of apparaten nadat deze op de markt zijn gebracht. De ontdekking van significante problemen met een product dat lijkt op een van de producten van UCB en waarbij een hele productklasse betrokken is, kan een wezenlijk nadelig effect hebben op de verkoop van de hele klasse van betrokken producten. Bovendien kan de verkoop worden beïnvloed door internationale en binnenlandse trends in de richting van beheerde zorg en kostenbeheersing in de gezondheidszorg, waaronder prijsdruk, politieke en publieke controle, patronen of praktijken van klanten en voorschrijvers, en het vergoedingsbeleid dat wordt opgelegd door derde betalende partijen, evenals wetgeving die van invloed zijn op de prijsstelling en terugbetaling van biofarmaceutische activiteiten en resultaten. Ten slotte kan een storing, cyberaanval of inbreuk op de informatiebeveiliging de vertrouwelijkheid,

Gezien deze onzekerheden mag u niet overmatig vertrouwen op dergelijke toekomstgerichte verklaringen. Er kan geen garantie worden gegeven dat de in dit persbericht beschreven onderzoeks- of goedgekeurde producten zullen worden aangeboden of goedgekeurd voor verkoop of voor enige aanvullende indicaties of etikettering op een markt, of op een bepaald moment, noch kan er enige garantie zijn dat dergelijke producten zullen commercieel succesvol zijn of zullen blijven in de toekomst.

UCB verstrekt deze informatie, inclusief toekomstgerichte verklaringen, alleen vanaf de datum van dit persbericht en geeft geen enkele potentiële impact weer van de zich ontwikkelende COVID-19-pandemie, tenzij anders aangegeven. UCB volgt de wereldwijde ontwikkelingen nauwgezet om de financiële betekenis van deze pandemie voor UCB te beoordelen. UCB wijst uitdrukkelijk elke plicht af om informatie in dit persbericht bij te werken, hetzij om de werkelijke resultaten te bevestigen, hetzij om enige wijziging in haar toekomstgerichte verklaringen dienaangaande of enige wijziging in gebeurtenissen, voorwaarden of omstandigheden waarop dergelijke verklaring is gebaseerd, tenzij een dergelijke verklaring vereist is op grond van toepasselijke wet- en regelgeving.

Bovendien vormt de informatie in dit document geen aanbod tot verkoop of een uitnodiging tot het doen van een aanbod om effecten te kopen, noch zal er een aanbod, uitnodiging of verkoop van effecten zijn in enig rechtsgebied waar een dergelijk aanbod, verzoek of verkoop zou worden gedaan. onwettig voorafgaand aan de registratie of kwalificatie onder de effectenwetten van een dergelijke jurisdictie.

Referenties:

1. Gegevens in het dossier. UCB. december 2021.
2. Myasthenia Gravis Stichting van Amerika. Klinisch overzicht van MG. <https://myasthenia.org/Professionals/Clinical-Overview-of-MG> . Toegang tot november 2021.
3. Chen J, et al. *Incidentie, mortaliteit en economische last van myasthenia gravis in China: een landelijk bevolkingsonderzoek* . Lancet Reg Health West Pac.2020;5:10063.
4. Gilhus N. *Myasthenia Gravis* . N Engl J Med. 2016;375:2570-2581.
5. Lisak, RP. *Beste praktijk Myasthenia gravis* . BMJ beste praktijk. 2021. Laatst geopend in december 2021
6. Robertson NP, et al. *Myasthenia gravis: een populatiegebaseerd epidemiologisch onderzoek in Cambridgeshire, Engeland* . J Neurol Neurochirurg Psychiatrie. 1998;65:492-496.
7. Kupersmith MJ et al. *Ontwikkeling van gegeneraliseerde ziekte na 2 jaar bij patiënten met oculaire myasthenia gravis* . Boog Neurol. 2003;60(2):243-248.
8. Hansen JS, et al. *Mortaliteit bij myasthenia gravis: een landelijk populatiegebaseerd vervolgonderzoek in Denemarken* . spier zenuw. 2016;53:73-77.
9. Clinical Trials.gov ' *Een onderzoek naar de werkzaamheid en veiligheid van rozanolixizumab bij volwassen patiënten met gegeneraliseerde myasthenia gravis* ': <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03971422> . Toegang tot november 2021.
10. Clinical Trials.gov ' *Veiligheid, verdraagbaarheid en werkzaamheid van Zilucoplan bij proefpersonen met gegeneraliseerde myasthenia gravis (RAISE)* ': <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04115293> . Toegang tot november 2021.
11. Kiessling P, et al. *De FcRn-remmer rozanolixizumab verlaagt de IgG-concentratie in het menselijk serum: een gerandomiseerde fase 1-studie* . Sci Transl Med. 2017;9(414).
12. Smit B, et al. *Generatie en karakterisering van een anti-humaan FcRn-antilichaam met hoge affiniteit, rozanolixizumab, en de effecten van verschillende moleculaire formaten op de verlaging van de plasma-IgG-concentratie* . MAbs.2018;10: 1111-30.