

Medienmitteilung

Basel (Schweiz), den 28. Mai 2015

PIQUR meldet positive Ergebnisse der Phase 1 Studie und den Beginn der Phase 2 von PQR309

Studie bestätigt gute Verträglichkeit und zeigt vielversprechende Hinweise auf klinische Antitumoraktivität

PIQUR Therapeutics AG, ein Schweizer Pharmaunternehmen, kündigte positive Ergebnisse aus der Phase 1 Studie an, in welcher der Wirkstoff PQR309 erstmalig am Menschen zur Behandlung von fortgeschrittenen soliden Tumoren erprobt wurde.

PQR309 ist ein neuartiger, für die orale Verabreichung entwickelter PI3K/mTOR-Inhibitor. Präklinische Studien haben ergeben, dass es sich bei PQR309 um einen hochselektiven dualen Kinase-Inhibitor handelt, der die Blut-Hirn-Schranke durchdringt und sowohl *in vitro* als auch *in vivo* eine hohe Antitumoraktivität aufweist.

Die Ergebnisse aus der Phase 1 Studie, in welcher PQR309 erstmals am Menschen erprobt wurde (First-in-human-Studie) weisen darauf hin, dass der Wirkstoff sicher und gut verträglich ist. Das pharmakokinetische Profil und die pharmakodynamische Wirkung entsprechen den Erwartungen. Ausserdem gibt die Studie erste Hinweise auf die klinische Aktivität des Wirkstoffes.

Insgesamt wurden 28 Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren in Kohorten mit steigender Dosierung mit PQR309 behandelt. Als maximal verträgliche Dosis (MTD) von PQR309 wurden 80 mg bei kontinuierlicher täglicher Einmalgabe festgelegt. Pharmakokinetische Daten lassen auf eine rasche Absorption von PQR309 und eine Dosisproportionalität schliessen. Die pharmakodynamische Beurteilung von Tumoren ergibt eine Abwärtsregulierung der PI3K/mTOR-Signalweg-Phosphoproteine.

Bei einem Patienten mit einer Fehlregulation des mTOR-Signalwegs konnte eine partielle Remission bestätigt werden, während sich der PI3K-mutierte Tumor eines weiteren Patienten erheblich reduzierte und ein geringes Ansprechen gemäss RECIST (Response Evaluation Criteria in Solid Tumors - Kriterien für die Bewertung des Ansprechens bei der Behandlung solider Tumore) zeigte. „Die Daten aus dieser ersten klinischen Studie am Menschen, einschliesslich der Evidenz klinischer Wirksamkeit, ist sehr ermutigend und zeigt das klinische Potential von PQR309 auf“, so Dr. Sasa Dimitrijevic, Chief Development Officer von PIQUR.

Die Ergebnisse dieser Studie werden an der Konferenz der Amerikanischen Gesellschaft für Klinische Onkologie (ASCO) vom 29. Mai bis zum 2. Juni 2015 vorgestellt.

[“A phase 1 first-in-human \(FIH\) dose-escalation \(DE\) study of the oral dual PI3K/mTOR inhibitor PQR309 in patients \(pts\) with advanced solid tumors: Final DE results.”](#) [Poster-Session: Developmental Therapeutics—Clinical Pharmacology and Experimental Therapeutics, Sub-Category: Signal Transduction, Abstract Nr. 2592, Montag, 30. Mai, 8:00 - 11:30 Uhr, Ort: S Halle A, Poster Board Nr. 308]

PIQUR hat darüber hinaus die Genehmigung der Gesundheitsbehörden für den Beginn einer klinischen Phase 2 Studie mit PQR309 erhalten. Ziel dieser Studie ist es, Wirksamkeitsdaten für gut verträgliche Dosierungen bei Patienten mit soliden Tumoren und hämatologischen Befunden mit anomaler PI3K/mTOR-Signalübertragung zu erfassen. „Nach der Genehmigung durch die Aufsichtsbehörden für den Beginn einer Phase 2 Studie von PQR309 freuen wir uns schon sehr darauf, unseren Wirkstoff als potentielle Behandlung für bestimmte Krebsindikationen weiterzuentwickeln“, so Prof. Dr. Richard Herrmann, Chief Medical Officer von PIQUR.

Patienten helfen, den Krebs zu überleben

Es ist das Ziel von PIQUR, Patienten dabei zu helfen, den Krebs zu überleben. Derzeit leben zwei von drei Menschen noch mindestens fünf Jahre nach ihrer Krebsdiagnose. Trotz signifikanter medizinischer Innovationen in der Krebsbehandlung gibt es einen grossen Bedarf an Therapien, die das Leben der Patienten verlängern und ihre Lebensqualität verbessern. PIQUR setzt sowohl auf PI3K (Phosphoinositid-3-Kinasen) als auch auf mTOR (mammalian target of rapamycin) als Schlüsselsignal-Moleküle, die bei bösartigen Erkrankungen in verschiedenen biologischen Prozessen - z. B. Zellvermehrung, Überleben und Metastasen - eine grundlegende Rolle spielen. Dies macht sie zu interessanten Zielen der Krebstherapie.

Über PQR309

Der Hauptwirkstoff von PIQUR, PQR309, ist ein neuartiger, für die orale Verabreichung entwickelter PI3K/mTOR-Inhibitor mit guten Aussichten, ein potentes Krebsmedikament zu werden. PQR309 schneidet dank seiner medizinisch-chemischen Eigenschaften gegenüber den derzeitigen und klinisch vollentwickelten PI3K/mTOR-Inhibitoren vorteilhaft ab. Anders als die Mehrzahl der Konkurrenzprodukte durchdringt PQR309 auch die Blut-Hirn-Schranke, was sein Anwendungsspektrum bei bösartigen onkologischen und hämatologischen Erkrankungen, die auch das Gehirn betreffen, erweitert. PQR309 zeigte Wirkung bei verschiedenen aggressiven Krebszelllinien, in welchen der PI3K/mTOR-Signalweg gehemmt wurde.

Über PIQUR

PIQUR ist ein im August 2011 als Spin-off der Universität Basel gegründetes Schweizer Pharmaunternehmen, das sich auf die Forschung und Entwicklung innovativer Krebsmedikamente auf der Basis der Lipidkinase (PI3K) und mTOR-Hemmung spezialisiert hat. Der Forschungsbereich von PIQUR zählt zu den vielversprechendsten der gesamten Onkologie. Sowohl PI3K als auch mTOR sind klinisch validierte Ziele für Arzneimittel der Onkologie. PIQUR verfügt über verschiedenste geschützte Patente für chemische Wirkstoffe. www.piqur.com

PIQUR

TARGETED CANCER THERAPIES

Media Relations:

Tatsuo Satoh
Head IT & Communications
T: +41 61 633 29 38
M: +41 78 819 17 44
tatsuo.satoh@piqur.com

Daniel Piller
Partner IRF Communications
T: +41 43 244 81 54
daniel.piller@irfcom.ch
www.irfcom.ch

Investor Relations:

Vladimir Cmiljanovic, PhD
Chief Executive Officer
T: +41 61 633 29 30
M: +41 76 516 87 72
vladimir.cmiljanovic@piqur.com