

## Medienmitteilung

Basel (Schweiz), 2. Dezember 2016

### **PIQUR erhält Orphan-Drug-Status der FDA bei primärem ZNS-Lymphom**

PIQUR Therapeutics AG, ein Schweizer Pharmaunternehmen, hat von der amerikanischen Aufsichtsbehörde FDA den Orphan-Drug-Status für den Wirkstoff PQR309 zur Behandlung des primären ZNS-Lymphom (PCNSL) erhalten.

Das PCNSL ist eine sehr seltene und aggressive Form von Tumoren des Lymphgewebes, die Gehirn, Augen oder Hirnhäute betrifft. In den USA sind weniger als 1 von 100.000 Personen von der Krankheit betroffen. Jährlich werden etwa 7.500 Neuerkrankungen in den USA, Europa und Japan diagnostiziert. Die Behandlungsmöglichkeiten für PCNSL sind begrenzt und die Prognose der Erkrankung ist mit den gegenwärtig verfügbaren Therapien schlecht.

„Wir freuen uns sehr, dass die FDA PQR309 den Orphan-Drug-Status zur Behandlung von PCNSL zugesprochen hat. Das ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein und ein wesentlicher Schritt für die klinische Weiterentwicklung von PQR309“, sagte Dr. Ruggero Della Bitta, Chief Medical Officer bei PIQUR. „Ausserdem ist es ein wichtiger Schritt, um dem dringenden Behandlungsbedarf der Menschen mit dieser seltenen und lebensbedrohlichen Krankheit entgegenzukommen.“

Das Orphan-Drug-Status-Programm der FDA gewährt Medikamenten einen speziellen Status, die für die Verwendung bei seltenen Krankheiten vorgesehen sind, von denen in den USA definitionsgemäss weniger als 200.000 Menschen betroffen sind. Mit dem Orphan-Drug-Status sind verschiedene Anreize und Vergünstigungen verbunden, wie die Unterstützung bei der Erstellung klinischer Studienprotokolle, Steuervorteile bei bestimmten Aufwendungen für klinische Studien, der Erlass von Gebühren für den Zulassungsantrag bei der FDA sowie eine siebenjährige Marktexklusivität nach der Zulassung.

**\*\*\*ENDE\*\*\***

## Hinweise für die Redaktion

### Kontakte

#### Media Relations:

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

#### Investor Relations:

Gaudenz von Capeller  
Chief Financial Officer  
T: +41 61 633 29 31  
M: +41 79 798 64 43  
[gaudenz.capeller@piqur.com](mailto:gaudenz.capeller@piqur.com)

### Über PQR309

PIQUR's Hauptwirkstoff PQR309 ist ein oral zu verabreichender, gehirngängiger Hemmer des PI3K/mTOR-Signalwegs, der bei 60–80 % aller menschlichen Krebserkrankungen aktiviert ist. Im Gegensatz zu den meisten Mitbewerbern kann PQR309 die Blut-Hirn-Schranke passieren und könnte daher zur Behandlung bösartiger Gehirntumoren eingesetzt werden. In präklinischen und klinischen Phase 1 Studien zeigte sich, dass PQR309 günstige Eigenschaften in Bezug auf Sicherheit, Verträglichkeit und Pharmakokinetik aufweist. PQR309 zeigte ausserdem sowohl präklinische Wirksamkeit in verschiedenen Tumormodellen als auch klinische Wirksamkeit in Phase 1 und 2 Studien.

Derzeit sind fünf klinische Phase 1 und 2 Studien mit PQR309 im Gange zu fortgeschrittenen soliden Tumoren (NCT02483858), zu wiederkehrende (*rezidivierenden*) oder nicht auf eine Therapie ansprechende (*refraktären*) Lymphomen (NCT02249429), zum rezidivierenden oder refraktären PCNSL (NCT02669511) und zum fortschreitenden Glioblastoma multiforme (NCT02850744) untersucht. In der Phase 1/2b Studie „PIQHASSO“ wird PQR309 ausserdem in Kombination mit dem Wirkstoff Eribulin von Eisai bei schwer behandelbarem Brustkrebs (metastasierendem HER2-negativem und tripelnegativem Mammakarzinom [NCT02723877]).

### Über PIQUR Therapeutics

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. Die Produktpalette geht aus einem der aussichtsreichsten onkologischen Forschungsgebiete hervor: sowohl PI3K als auch mTOR sind klinische validierte Ziele für Arzneimittel der Onkologie. PIQUR hält die weltweite Exklusivlizenz an den geistigen Eigentumsrechten zur Entwicklung und Vermarktung von PQR309 und einer Reihe von verwandten Substanzen.  
[www.piqur.com](http://www.piqur.com)