

PROSENSA BASIN BİLDİRİSİ

Prosensa; Potansiyel bir DMD Tedavisi Olarak Drisapersen için Yasal Onay Sürecini Başlattığını İlan Etti.

Prosensa bu yıl FDA'ya yeni bir ilaç müracaatında bulunmayı planlıyor

EMA'yla olan söyleşi onay isteme talebiyle devam ediyor.

Leiden, Hollanda, 3 Haziran 2014- Karşılanmamış tıbbi ihtiyacı yüksek olan nadir hastalıklara odaklanan Hollandalı biyo-eczacılık şirketi Prosensa Holding(NASDAQ:RNA) bugün Amerika Gıda ve İlaç İdaresi'nin hızlandırılmış onay süreci altında drisapersen için yasal onay sürecinin taslağını çizdiğini ve şirketin Duchenne Kas Distrofisi (DMD)nin potansiyel tedavisi için başlıca programını açıkladı. Ayrıca, şirket Avrupa İlaç Kurumu(EMA)'yla etkileşimde bulunmakta ve bu etkileşime bağlı olarak, Avrupa'da da başvuru yapma niyetindedir. etkileşimlere bağlıdır.

FDA'dan gelen olumlu geri bildirimden sonra, Prosensa var olan veriye dayanan hızlandırılmış onay süreci altında drisapersen için FDA'ya Yeni İlaç Müracaatı(NDA) ibraz edeceklerini doğruladı. Şirket bu yıl daha sonra bir dosya sunmayı planlıyor ve onay sonrası tasdik edici iki çalışmayı başlatacak. " Bu yıkıcı hastalıktan mustarip olan erkek çocukları için acilen etkili tedavi yöntemleri bulmamız gerektiğinden, bu olumlu sonuca ve yasal onay yetkililerin DMD tedavisi için araştırma aşamasındaki ürünleri geliştirme isteklerine sevinemiyoruz" dedi Prosensa Genel Müdürü Hans Schikan.

"Ocakta GSK'den hakları geri aldığımızdan beri, çeşitli senaryolar için özenle ve sebat ederek hazırlanıyoruz ve drisapersen veri kümesinin daha detaylı incelemesini tamamlıyoruz. Bugün açıklanan süreç erkek çocukları ve aileleri için kayda değer bir haber ve hastanın drisapersene uzun dönem erişimine ve DMD için alışılmışın dışında tedaviler olarak devam ürünlerimizi sağlamaya odaklanmaya devam ediyoruz" dedi.

FDA, tasdik edici denemeler için şirketin her ikisini de mümkün olduğunca çabuk başlatmaya teşvik edildiği, rehber yazısından alıntılanmış şu yaklaşımları tasarladı:

- "Tarihsel açıdan kontrol edilmiş bir deneme, hızlandırılmış onay sürecinden sonra klinik yararı teyit etmek için kabul edilebilir. Tarihsel açıdan kontrol edilmiş bir çalışmanın drisapersenin olumlu etkisinin fazla olması durumunda, yorumlanabilir etkinlik kanıtı olabileceğini; drisapersen tedavisi görmüş olan deneklerde performansın hastalığın doğasının bilgisine dayanan ve mantık açısından tahmin edilenden daha iyi olduğunu göstererek açık bir şekilde belirtiyoruz. Etki ,tarihsel açıdan kontrol edilmiş denemelerin doğasında olan belirsizliğin ve sonuçları etkileyecek olan güdüsel faktörlerin üstesinden gelecek kadar yeterli boyutta olmak zorundadır.*

2. *Farklı bir eksone yönelen benzer hareket mekanizması olan (Örneğin; PRO044 ya da PRO045) distrofin protein ürününün ve 6 dakikalık bir yürüyüşün ya da başka bir önlemin klinik faydasının arasındaki ilişkinin göstergesi olan başka bir ekson-atlama ilacının tesadüfi ve plasebo kontrollü çalışması, onay sonrası bitiş noktasına dayandırılırsa drisapersen'in klinik faydasının tasdik edici kanıtı olabilir.*

Drisapersen'in başlangıçta onay sonrası tasdik edici çalışmalarla birlikte, Prosensa daha önce drisapersen'in klinik çalışmalarına katılmış ilk grup olan erkek çocukları için 2014'ün üçüncü çeyreğinde tekrar doz ayarlama planlarına devam ediyor. Temelinde rehberlik olan bir seçenek önceden bu doğrulayıcı çalışmalarda tedavi olan birkaç hastayı kaydetmek. Ek olarak, Prosensa'nın 250 hasta kaydeden doğa bilgisi çalışması tarihsel bir kontrol işlevi görebilir.

Belçika'da Leuven Üniversite Hastaneleri(UHL)'nin Çocuk Nöromusküler Merkezi Başkanı Dr. Nathalie Goemans: "DMD'nin doğa bilgisinin daha iyi anlaşılması ve gelişmekte olan etkili tedavi yöntemleri Prosensa gibi öncülerin sorumluluğunu alıyor ve biz FDA'nın drisapersen'in yasal onay sürecini hızlandırma ve olanak halinde devam ekson-atlama tedavi yöntemlerinin taraftarı olduğu haberini memnuniyetle karşılıyoruz" dedi.

Prosensa, I/II klinik çalışma evrelerinde ve klinik öncesi gelişmedeki iki programda diğer üç ekson-atlama tedavi yöntemleriyle, ki bunların hepsine Amerika ve Avrupa'da öksüz ilaç ismi verilmiş, DMD tedavisi gelişiminde hedeflenen RNA merkezli ürünlerin en kapsamlı aşamasına sahip. PRO044 için doz ayarlama çalışmalarının tamamlanmasına ek olarak PRO045 ve PRO053 için de devam ediyor.

Konferans Çağrısı/Webcast Bilgisi

Prosensa, 3 Haziran 2014'te Kuzey Amerika saatine göre 8.00'de Merkez Avrupa saatine göre 14.00'te bu yasal onay sürecinin son halini tartışmak için bir konferansa ev sahipliği edecek. Konferansa katılmak için, lütfen +1-877-407-9170'i arayın(Amerika yurt içi için ücretsiz). Prosensa şirketi websitesi www.prosensa.com'da Yatırımcılar ve Media bölümünde "Etkinlikler ve Sunumlar" başlığı altında uluslararası telefon numaralarına ve sesli bir yayına ulaşabilirsiniz.

Prosensa Holding N.V. Hakkında

Prosensa (NASDAQ: RNA) genetik bozukluklar için RNA modülasyonu tedavi biliminin keşfinde ve gelişmesinde faaliyette bulunan Hollanda kökenli biyoteknoloji şirkettir. Başlıca odak noktası Duchenne Kas Distrofisi, Miyotonik Distrofi ve Huntington Hastalığı'nı da kapsayan karşılanmamış tıbbi ihtiyacı yüksek olan nadir nöromusküler ve nörolojik dejeneratif bozuklukları üzerinedir. www.prosensa.com

Drisapersen ve Prosensa'nın klinik gelişme süreci hakkında

Drisapersen(önceden GSK2402968/PRO051 olan) Prosensa'nın öncülük ettiği ekson-atlama teknolojisine dayalı hedeflenen bir RNA tedavi yöntemidir. Ekson 51'e bağlı distrofin gen mutasyonu olan ve DMDli erkek çocuklarının %13ünü temsil eden hastalar için geliştirilmiştir. Drisapersen; Amerika, Avrupa, Avustralya ve Japonya'da öksüz ilaç konumundadır. 2013 haziranında, drisapersene 2013teki II. Evre Çalışmasının (TALEP II) sonuçlarına dayanarak Amerika Yiyecek ve İlaç İdaresi tarafından Çığır Açan Tedavi adı bahşedildi.

Drisapersen klinik programının tamamı, üç tane çift-kör plasebo kontrollü çalışma (TALEP II, TALEP V ve TALEP III) ve iki tane uzun dönem açık uçlu genişleme çalışmaları(DMD114673 ve TALEP IV)ndan oluşur.

Drisapersene ek olarak; Prosensa, klinik öncesi gelişmede 52 ve 55 atlamalarını gösteren iki programın yanı sıra distrofin genindeki 44, 45 ve 53 eksonlarını atlamak için tasarlanmış ürünlerle yapılan klinik I.ve II. Evre çalışmalarında farklı üç ekson atlama terapisine sahiptir. Avrupa ve Amerika'da Prosensa'ya DMD tedavisinin gelişimindeki altı bileşiminden dolayı öksüz ilaç adı bahşedildi.

DMD Hakkında

Duchenne Kas Distrofisi(DMD) 3500 canlı erkek doğumundan 1'ini etkileyen, ciddi derecede sakat bırakan nöromüsküler bir çocukluk hastalığıdır. Bu nadir görülen hastalık distrofin geninde distrofin proteininin eksikliğine ya da yoksunluğuna neden olan mutasyonlardan kaynaklanır. Hastalar kas işlevinin progresif kaybından mustarip olurlar ve bu da onları 12 yaşından önce tekerlekli sandalyeye bağlar. Solunum ve kalp kasları da bu hastalıktan etkilenebilir. Az sayıda hasta 30 yaşına kadar yaşar.

Ekson atlama hakkında

79 eksondan oluşan distrofin geni vücuttaki en büyük genidir. Eksonlar protein gruplarının üretimini sağlayan küçük genetik kod dizileridir. DMD'de bazı eksonlar mutasyona uğradığında/koptuğunda , RNA hatadan sonraki genetik kodu çözemez. Bu da geri kalan eksonların çözülmesini engelleyerek işlevsiz distrofin proteinine ve ciddi DMD semptomlarına yol açar.RNA asıllı tedaviler, özellikle ekson atlama olan antisens oligonükleotitler, DMD'nin gelişiminde mevcuttur. Bu teknoloji kopmanın yanındaki bir eksonu atlamak için sentetik antisens oligonükleotitlerini kullanır ve böylece orijinal bir distrofin proteini üretimini sağlayan çözüm çerçevesini düzeltir.

İleriye Dönük İfadeler

Bu basın bildirisini ileriye dönük bazı ifadeler içerir. Bu basın bildirisinde bulunan tarihsel gerçekler dışındaki stratejimize, ilerideki faaliyetlerimize, ekonomik durumumuza, kazançlarımıza, öngörülen maaliyetlerimize, potansiyel müşterilerimize, planlarımıza ve idari hedeflerimize ilişkin bütün ifadeler ileriye dönük ifadelerdir.Bütün ileriye dönük ifadeler bu

belirleyici kelimeleri içermese de "Ummak", "inanmak", "tahmin etmek", "beklemek", "hedeflemek", "olasılığı olmak", "plan", "öngörmek", "proje", "hedef", "potansiyel", gelecek ve ihtimal bildiren yardımcı fiiller, "devam etmek" gibi kelimeler ve benzer söylemlerin ileriye dönük ifadeleri belirlemesi amaçlanmıştır. Bu basın bildirisindeki ileriye dönük ifadeler, ekson-atlama ilacı adaylarımız çevresindeki ifadeleri içerir. Gerçek sonuçlar bu ileriye dönük ifadelerde amaçlanan ya da ima edilenlerden somut olarak farklı olabilir. Bu ileriye dönük bilgi beklenen sonuçları önemli derecede etkileyecek belirsizlikler ve riskler barındırabilir. Bu belirsizlik ve riskler, şirketin bu bildiriye ilişkin 6-K Formu ve 20-F Formundaki yıllık raporunun bazı bölümleri dahil SEC dosyalarında tartışılır. Ek olarak, ileriye dönük herhangi bir ifade sadece bugün itibarıyla görüşlerimizi temsil eder ve başka bir tarihteki görüşlerimizin temsiline dayandırılmamalıdır. Gelecekte bazı noktalarda bu ileriye dönük ifadeleri güncellemeyi tercih edebilirken görüşlerimiz değişse bile herhangi bir yükümlülük durumunu özellikle reddediyoruz.

İletişim:

Prosensa Holding N.V.

IR&Kurumsal İletişim Müdür Yardımcısı Celia Economides

Telefon: +1 917 941 9059

E-mail: c.economides@prosensa.nl