

PRESSE- MITTEILUNG

MetrioPharm erhält *Orphan Drug Designation* für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- FDA erteilt *Orphan-Drug-Status* für MetrioPharms Wirkstoffkandidaten MP1032 zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)
- DMD ist sowohl in Europa als auch in den USA eine ausgewiesene *Orphan-Indikation*
- Die Entwicklungsziele von MetrioPharm sind bessere Verträglichkeit existierender Therapien und verbesserte Wirksamkeit bei der Langzeitbehandlung von DMD-Patienten

Zürich, 30.05.2023 – MetrioPharm AG, ein pharmazeutisches Unternehmen, das Medikamente gegen Entzündungs- und Infektionskrankheiten entwickelt, gab heute bekannt, dass die amerikanische *Food and Drug Administration* (FDA) dem Wirkstoffkandidaten MP1032 den *Orphan-Drug-Status* für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie erteilt hat.

DMD ist eine sogenannte Seltene Krankheit (*orphan disease*) und die häufigste Form der Muskeldystrophie. Es handelt sich um eine genetisch bedingte Erkrankung, die fortschreitenden Muskelabbau verursacht; die ersten Symptome treten in der frühen Kindheit auf, in der Regel zwischen dem zweiten und dritten Lebensjahr. Die Krankheit betrifft vor allem Jungen und führt zu schwerem Muskelschwund und Herzversagen (Mädchen können mildere Symptome entwickeln). DMD verkürzt die Lebenserwartung erheblich. Die derzeitigen Standardtherapien bestehen aus einer jahrzehntelangen Behandlung mit hochdosiertem Cortison, die zu schwerwiegenden Nebenwirkungen führt und das Fortschreiten der Krankheit lediglich verlangsamen kann.

"DMD kann derzeit nicht geheilt, aber behandelt werden," erklärte Dr. Wolfgang Brysch, CSO und Mitbegründer von MetrioPharm. „Diese Therapie hat schwere Nebenwirkungen, die die Lebensqualität der Patienten stark beeinträchtigen. Mit MP1032 wollen wir die Verträglichkeit der Behandlung verbessern und gleichzeitig das Fortschreiten der Krankheit weiter verlangsamen. Unser Ziel ist es, sowohl die Sicherheit als auch die Wirksamkeit bei der Langzeitbehandlung von DMD-Patienten zu verbessern."

„Der *Orphan-Drug-Status* wird für Arzneimittelkandidaten vergeben, die von der FDA als vielversprechende neue Therapie angesehen werden. Bei der Entwicklung von Medikamenten für Seltene Krankheiten sind die Fristen kürzer und die Kosten niedriger als bei Indikationen mit größeren Patientengruppen", sagte Thomas Christély, CEO von MetrioPharm. „Der *Orphan-Drug-*

Status für MP1032 durch die FDA ist ein sehr wichtiger Erfolg; er bringt uns einen entscheidenden Schritt näher an eine beschleunigte Marktzulassung unseres Moleküls für Duchenne-Patienten. MetrioPharm plant 2024 eine klinische Phase-II-Studie in DMD durchzuführen."

DMD ist als Seltene Krankheit mit hohem medizinischem Bedarf eingestuft. Die FDA erteilt den *Orphan-Drug-Status* für Therapien zur Behandlung Seltener Krankheiten (weniger als 200.000 Menschen in den USA betroffen). Der *Orphan-Drug-Status* bietet den Entwicklern von Medikamenten zahlreiche Vorteile, darunter Unterstützung im Entwicklungsprozess, Befreiung von den FDA-Gebühren und sieben Jahre Marktexklusivität nach der Zulassung.

Über MP1032 in DMD

MetrioPharm hat präklinische Studien in Zusammenarbeit mit der Patientenorganisation *Duchenne UK* durchgeführt. In diesen In-vivo-Versuchen wurde MP1032 in einem mdx-Modell für DMD getestet und mit der Wirkung von Kortikosteroiden verglichen. MP1032 war in der Lage, die Muskelkraft zu steigern, wie das Kortikosteroid Prednisolon®, jedoch ohne dessen schwere Nebenwirkungen. In einer zweiten präklinischen Studie, durchgeführt von Eurofins, zeigten mehrere Biomarker, dass die Kombination von MP1032 mit einer um 90 % reduzierten Dosis von Prednisolon® die Wirksamkeit auf mehr als das Zweieinhalbfache der normalen Prednisolon®-Dosis erhöht. Dieser supra-additive (synergistische) Effekt bedeutet, dass beide Substanzen, MP1032 plus Prednisolon®, in Kombination wirksamer sind als jede Substanz allein.

Über MetrioPharm AG

Die MetrioPharm AG ist ein privates, *clinical stage* Biotech-Unternehmen, das sich auf Therapien für Entzündungs- und Infektionskrankheiten fokussiert.

MetrioPharm zielt auf die Modulation des Immunstoffwechsels mit *First-In-Class* selbstregulierenden Wirkstoffkandidaten. Die Plattform des Unternehmens hat niedermolekulare Stoffwechselmodulatoren hervorgebracht, die ihre präklinische und klinische Wirksamkeit bei einem breiten Spektrum von Entzündungs- und Infektionskrankheiten mit einem hervorragenden Sicherheitsprofil bewiesen haben.

Auf der Grundlage dieser Kerntechnologie hat MetrioPharm eine Pipeline krankheitsspezifischer Arzneimittelkombinationen entwickelt, die auf Entzündungs-, Autoimmun- und degenerative Erkrankungen abzielen. Präklinische und klinische Wirksamkeitsdaten wurden bei Multipler Sklerose, Arthritis, Sepsis, entzündlichen Darmerkrankungen und Psoriasis gewonnen. Das Unternehmen erforscht derzeit mehrere *Orphan-Indikationen*.

In einem zweiten Entwicklungsstrang entwickelt MetrioPharm seine Technologie zur Bekämpfung von Infektionskrankheiten wie COVID-19 - auch als *Proof of Concept* zur verbesserten Pandemievorsorge. Mit Unterstützung *European Health Emergency Preparedness and Response Authority* (HERA) wurde in einer explorativen Phase-IIa-Studie die Wirkung bei hospitalisierten COVID-19-Patienten untersucht. Die Studie bestätigte das gute klinische Sicherheitsprofil von MP1032 und zeigte überzeugende Wirksamkeitsdaten.

Das Unternehmen hat seinen Hauptsitz in Zürich und eine Tochtergesellschaft für F&E-Aktivitäten in Berlin.

Zukunftsbezogene Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsbezogene Aussagen, die Risiken und Ungewissheiten beinhalten und mit der Einschätzung der MetrioPharm AG zum Zeitpunkt dieser Mitteilung übereinstimmen. Solche zukunftsbezogenen Aussagen sind weder Versprechen noch Garantien, sondern unterliegen zahlreichen Risiken und Ungewissheiten. Es wird keine Haftung oder Garantie und auch kein Anspruch auf Aktualität, Richtigkeit oder Vollständigkeit dieser Daten und Informationen übernommen, und es sollte keine rechtliche Verbindlichkeit dieser Daten und Informationen abgeleitet werden, weder ausdrücklich noch konkludent.

Kontakte:

MetrioPharm

Corporate Communications & Press Relations

T +49 (0) 30 33 84 395 02

F +49 (0) 30 33 84 395 99

E presse@metriopharm.com

W www.metriopharm.com

akampion

Dr. Ludger Wess / Ines-Regina Buth

info@akampion.com

Phone +49 40 88 16 59 64

Phone +49 30 23 63 27 68