

PRESSEINFORMATION

Gemeinsame Pressemitteilung von Caeregen und WACKER

Nummer 24

Caeregen Therapeutics und Wacker Biotech geben Kooperationsvereinbarung zur Herstellung des klinischen Kandidaten CTR-107 (Noregen™) für Netzhauterkrankungen bekannt

Rochester, Michigan, USA und Halle, 28. Juni 2023 – Caeregen Therapeutics, ein Unternehmen für Therapeutika der regenerativen Medizin, und Wacker Biotech, ein Auftragshersteller (CDMO) für Biopharmazeutika, werden bei der Entwicklung und Herstellung von CTR-107 (Noregen™), einem neuartigen regenerativen Therapeutikum zur Behandlung von retinabedingtem Sehverlust, zusammenarbeiten. Als CDMO-Partner von Caeregen für CTR-107 wird Wacker Biotech den Wirkstoff am Standort des Unternehmens in Halle herstellen und die Produktion des Arzneimittels für die klinische Prüfung am Standort in Amsterdam abschließen, um den Beginn der klinischen Phase I/II-Studie im Jahr 2024 zu unterstützen. CTR-107 ist das erste Programm, das von der amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA den Status einer seltenen pädiatrischen Erkrankung zur Behandlung der Familiären Exsudativen Vitreoretinopathie (FEVR) erhalten hat.

CTR-107 ist ein synthetischer gezielter Wachstumsfaktor, der die Eigenschaften von Norrin nachahmt, einem natürlich vorkommenden menschlichen Protein, das die Entwicklung normaler, organisierter

Blutgefäße und Neuronen im menschlichen Auge, Ohr und zentralen Nervensystem fördert. CTR-107 wird zunächst für die Behandlung der Familiären Exsudativen Vitreoretinopathie (FEVR) entwickelt, einer genetisch bedingten Störung der Blutgefäßbildung in der Netzhaut, die zu einem teilweisen oder vollständigen Verlust des Sehvermögens führt. Wenn CTR-107 in das Auge injiziert wird, kann es die Blutgefäße und Neuronen der Netzhaut regenerieren, die normale Funktion der Netzhaut wiederherstellen und dem Sehkraftverlust aufgrund der FEVR entgegenwirken. Perspektivisch beabsichtigt Caeregen, Noregen™ auch für andere kritische Netzhauterkrankungen wie retinalen Venenverschluss (RVO), diabetische Retinopathie (DR) und altersbedingte Makuladegeneration (AMD) zu entwickeln.

Im Dezember 2022 erhielt Noregen™ von der U.S. Food and Drug Administration (FDA) den Status einer seltenen pädiatrischen Erkrankung (Rare Pediatric Disease) für die Behandlung der Familiären Exsudativen Vitreoretinopathie (FEVR). Dadurch hat Caeregen zum Zeitpunkt der Marktzulassung Anspruch auf eine vorrangige Prüfung im Rahmen eines sogenannten Priority Review Vouchers. Diese RPD-Zulassung für Noregen™ ist die erste, die von der FDA für Kinder mit FEVR erteilt wurde. Zuvor hatte CTR-107 bereits die Orphan Drug Designation (ODD) sowohl durch die FDA als auch durch die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) der Europäischen Kommission erhalten.

Caeregen schloss im Jahr 2022 einen Vertrag mit Wacker Biotech ab, um die anfängliche Herstellung und Prozessentwicklung für CTR-107 zu unterstützen. Nun hat Caeregen eine Partnerschaft mit Wacker Biotech vereinbart, um den aktiven Wirkstoff von CTR-107 für die

erste geplante klinische Studie der Phase I/II am Standort von Wacker Biotech in Halle herzustellen. Die Herstellung des fertigen Arzneimittels für die klinische Studie von CTR-107 wird am Standort von Wacker Biotech in Amsterdam erfolgen. Der Beginn der Produktion gemäß den Anforderungen der pharmazeutischen GMP (Good Manufacturing Practice) ist für Anfang 2024 geplant.

„Wir haben uns für Wacker Biotech als CDMO-Partner für die Entwicklung von CTR-107 entschieden, weil das Unternehmen über langjährige Erfahrung und ein tiefes Verständnis für die Proteinchemie verfügt und weil wir gemeinsam mit Wacker Biotech den wissenschaftlichen Fortschritt vorantreiben wollen“, sagt Walter Capone, CEO von Caeregen Therapeutics, und fügt hinzu: „Wacker Biotech hat das Potenzial, ein bahnbrechendes Programm für eine seltene, verheerende Netzhauterkrankung zu entwickeln, für die es keine therapeutischen Optionen gibt.“ Das gemeinsame Ziel der Unternehmen ist die Entwicklung eines zugelassenen Produkts für Patienten mit fortschreitendem Sehverlust, der zur Erblindung führt. „Durch seine einzigartige Struktur hat CTR-107 das Potenzial, die Neurovaskulatur zu reparieren und zu regenerieren, um das Sehvermögen wiederherzustellen, was auch bei Hörverlust und neurodegenerativen Erkrankungen angewendet werden kann. Wir freuen uns, Caeregen Therapeutics bei der Entwicklung dieses revolutionären regenerativen Wirkstoffkandidaten und der Produktplattform zu unterstützen“, sagt Guido Seidel, der bei WACKER für das Biopharmazeutika-Geschäft zuständig ist.

Wacker Biotech, eine hundertprozentige Tochtergesellschaft der Wacker Chemie AG mit Sitz in München, setzt bei der Herstellung von CTR-107 die von ihr entwickelte FOLDTEC®-Technologie ein.

Mit dieser Rückfaltungstechnologie können mikrobiell hergestellte Pharmaproteine, die während der Produktion zur Bildung von Einschlusskörpern neigen, kostengünstig und zuverlässig in hoher Ausbeute und hoher Reinheit hergestellt werden. Das patentierte Verfahren nutzt speziell entwickelte und optimierte E.coli-Bakterienstämme, ein patentiertes, antibiotika- und phagenfreies Plasmidpflegesystem sowie umfassendes Know-how zur Rückfaltung.

Über CTR-107 (Noregen™)

CTR-107 (Noregen™) ist ein synthetischer, zielgerichteter Wachstumsfaktor zur Behandlung von retinabedingtem Sehverlust nach dem Vorbild von Norrin, einem natürlich vorkommenden menschlichen Protein, das die Netzhautbildung in der fötalen Entwicklung steuert. CTR-107 kann die Entwicklung normaler, organisierter Blutgefäße und Neuronen im menschlichen Auge, Ohr und Zentralnervensystem bei Personen mit vererbten oder erworbenen Netzhauterkrankungen fördern und könnte auch bei anderen neurosensorischen Erkrankungen eingesetzt werden. Als erster therapeutischer Kandidat seiner Klasse zur Regeneration und Reparatur der Netzhautgefäße, um das Sehvermögen von Patienten mit ischämischen Vitreoretinopathien wiederherzustellen und zu erhalten, wird CTR-107 derzeit für die Familiäre Exsudative Vitreoretinopathie (FEVR) entwickelt, eine seltene Krankheit mit dringendem, bislang ungedeckten medizinischen Bedarf. Weitere Informationen finden Sie unter: www.caeregen.com.

Über Caeregen Therapeutics

Caeregen Therapeutics, LLC, mit Sitz in Rochester, Michigan, und Büros in Chapel Hill, N.C., ist ein Unternehmen für regenerative

Medizin, das Therapeutika für neurosensorische Erkrankungen entwickelt. Durch die Nutzung biologischer Signalwege, die mit der Zell- und Organentwicklung zusammenhängen, konzentriert sich Caeregen auf die Entwicklung gezielter Therapien, die neurosensorische Gewebe, die von vererbten oder erworbenen Krankheiten betroffen sind, reparieren, wiederherstellen und schützen können. Caeregen entwickelt derzeit Noregen™, ein einzigartiges, neuartiges, rekombinantes Proteinmimetikum des menschlichen Norrin-Wachstumsfaktors für die potenzielle Behandlung von Sehkraftverlust in der Netzhaut. Weitere Informationen finden Sie unter: www.caeregen.com.

Über Wacker Biotech

Wacker Biotech GmbH, Wacker Biotech B.V. und Wacker Biotech US Inc. sind Full-Service-Auftragshersteller von therapeutischen Proteinen, lebenden mikrobiellen Produkten (LMPs), Plasmid-DNA (pDNA), Boten-Ribonukleinsäure (mRNA) und Impfstoffen auf Basis mikrobieller Systeme. Das Portfolio von Wacker Biotech reicht von der Stamm-/Prozessentwicklung über die analytische Prüfung bis hin zur Produktion für klinische und kommerzielle Anwendungen. Wacker Biotech betreibt vier GMP-konforme (Good Manufacturing Practice) Produktionsanlagen an den Standorten Jena und Halle in Deutschland, in Amsterdam in den Niederlanden und in San Diego (USA). Die Produktionsstätten in Jena, Halle und Amsterdam sind FDA- und EMA-zertifiziert. Die Wacker Biotech GmbH, die Wacker Biotech B.V. und die Wacker Biotech US Inc. sind hundertprozentige Tochtergesellschaften der Wacker Chemie AG, München. Weitere Informationen finden Sie unter: www.wacker.com/biologics

Weitere Informationen erhalten Sie von:

Pressekontakt

Wacker Chemie AG

Manuela Dollinger

Tel. +49 89 6279-1629

manuela.dollinger@wacker.com

Caeregen Therapeutics, LLC

Walter Capone

Tel. +1 984-309-8915

wmcapone@caeregen.com