

MEDIENMITTEILUNG

Weltweit erste klinische Studie für Anti-Abeta-Impfstoff gegen Alzheimer-ähnliche Symptome bei Menschen mit Down-Syndrom

- **In der Studie wird ACI-24 von AC Immune geprüft, der erste Anti-Amyloid-Impfstoff zur Behandlung von Alzheimer-ähnlichen Symptomen bei Menschen mit Down-Syndrom.**
- **Die klinische Studie wird in Zusammenarbeit mit der University of California, San Diego durchgeführt.**
- **Ein signifikanter Teil der Finanzierung wird durch die US-amerikanischen National Institutes of Health und einen Grant der LuMind Research Down Syndrome Foundation bereitgestellt.**
- **Alzheimer-ähnliche Symptome bilden sich bei nahezu allen Menschen mit Down-Syndrom heraus, die älter als 40 Jahre sind, und die Mehrzahl von ihnen entwickelt mit über 60 Jahren eine damit einhergehende Demenz.**

Lausanne/Schweiz, San Diego, Kalifornien, und Marlborough, Massachusetts/USA

– 7. Januar 2016 – Heute wurden Pläne zur Durchführung der weltweit ersten klinischen Studie für einen Impfstoff gegen Alzheimer-ähnliche Symptome bei Menschen mit Down-Syndrom bekanntgegeben. In der Studie wird der Impfstoff ACI-24 von AC Immune getestet. Die Studie wird in Zusammenarbeit mit dem Down Syndrome Research and Treatment Center der University of California, San Diego (UC San Diego) durchgeführt. Die Finanzierung wird durch einen signifikanten Grant der US-amerikanischen National Institutes of Health (NIH) sowie durch einen weiteren Grant der LuMind Research Down Syndrome Foundation bereitgestellt. Hierbei handelt es sich um die erste öffentlich-private Zusammenarbeit bei einer klinischen Studie im Bereich Down-Syndrom.

Menschen mit Down-Syndrom weisen ein zusätzliches 21. Chromosom auf, auf dem das Amyloid-Precursor-Protein (APP) von Abeta codiert ist – ein wichtiges Hauptmerkmal der Alzheimer-Krankheit. Daher gilt es als anerkannt, dass Menschen mit Down-Syndrom (DS) drei- bis fünfmal häufiger Alzheimer-ähnliche Symptome entwickeln als die allgemeine Bevölkerung und dass sie diese Symptome bereits in wesentlich jüngerem Alter entwickeln. Zudem bilden sich Alzheimer-ähnliche Symptome bei mehr als 98% der Menschen mit Down-Syndrom heraus, die älter als 40 Jahre sind, und bis zu 80% von ihnen entwickeln mit über 60 Jahren eine damit einhergehende Demenz. Man schätzt, dass es weltweit 6 Millionen Menschen mit DS gibt, von denen 400.000 in den USA leben.

An der Studie werden Erwachsene mit DS teilnehmen. Ziele der Studie sind etwa die Untersuchung der Sicherheit und Verträglichkeit von ACI-24, seiner Wirkung auf die Induktion von Antikörpern gegen Abeta, der klinischen und kognitiven Messverfahren bei Erwachsenen mit DS sowie seiner Wirkung auf Biomarker von Alzheimer-ähnlichen Symptomen bei DS. Die Studienteilnehmer werden zwölf Monate lang behandelt, an die sich zwölf Monate Follow-up anschließen.

Prof. Andrea Pfeifer, CEO von AC Immune, sagte: „Wir freuen uns sehr, dass wir diese potenziell krankheitsmodifizierende Behandlung gegen Alzheimer für die genetisch vorbelasteten Menschen mit Down-Syndrom bereitstellen können. Die Kombination aus Wissen und Ressourcen von AC Immune, UC San Diego, NIH und der LuMind Research Down Syndrome Foundation könnte dringend benötigte Einblicke in die Behandlung von Alzheimer-ähnlichen Symptomen bei Menschen mit Down-Syndrom bringen. Zudem wird diese bahnbrechende klinische Studie möglicherweise unser Verständnis bezüglich des frühzeitigen Eingreifens und der Prävention von Alzheimer im Allgemeinen verbessern.“

Dr. William Mobley, Executive Direktor des Down Syndrome Research and Treatment Center der UCSD, bemerkte dazu: „Wir freuen uns sehr, dass wir mit unseren Kollegen von AC Immune und der LuMind Research Down Syndrome Foundation in dieser interessanten Studie zusammenarbeiten können. Sie ist der erste Schritt in einem Prozess, der letztlich zum Ziel hat, Alzheimer bei Menschen mit Down-Syndrom zu verhindern. Die Studie wird sowohl aus öffentlichen als auch aus privaten Quellen finanziert, was die große Bedeutung dieser Studie noch akzentuiert. Wir bedanken uns bei unseren Kollegen, denn wir freuen uns sehr, dass wir Menschen mit Down-Syndrom und ihren Familien und Angehörigen helfen können.“

Dr. Michael Harpold, Chief Scientific Officer der LuMind Research Down Syndrome Foundation, erklärte: „Wir freuen uns sehr, dass die LuMind Research Down Syndrome Foundation mit AC Immune, UC San Diego und NIH zusammenarbeitet, um gemeinsam mit ihnen die allererste öffentlich-private Partnerschaft für eine klinische Studie im Bereich Down-Syndrom zu etablieren. Ein wichtiger Teil der Aufgabe und der Verpflichtung unserer Stiftung ist es, die Erforschung und Entwicklung neuer potenzieller Therapien zu beschleunigen, um den intellektuellen Entwicklungsstörungen und dem vorzeitigen Beginn der Alzheimer-Krankheit bei Menschen mit Down-Syndrom entgegenzuwirken und so den vorzeitigen Rückgang und Verlust bedeutender Fortschritte zu verhindern, die sie im Laufe ihres Lebens erreicht haben.“

Über ACI-24

ACI-24 ist ein liposomaler therapeutischer Anti-Abeta-Impfstoff von AC Immune, der dank der unternehmenseigenen Technologieplattform SupraAntigen™ entwickelt wurde. Der Impfstoff soll das Immunsystem der Patienten stimulieren, sodass es Antikörper

bildet, die speziell die oligomerischen und fibrillären Abeta-Proteine angreifen, um die Ablagerung von Beta-Amyloid-Plaques zu verhindern und den Abbau von Plaques zu verbessern. Präklinische Daten belegten eine signifikante Wirkung bei der Verringerung von Plaques und der Wiederherstellung des Gedächtnisses sowie ein positives Sicherheitsprofil, das sich durch ein Ausbleiben lokaler Entzündungen und einen von den inflammatorischen T-Zellen unabhängigen Wirkmechanismus auszeichnet. Der Impfstoff derzeit auch in einer klinischen Phase-1/2a-Studie an Patienten mit leichter bis moderater Alzheimer-Krankheit untersucht, bei der bislang keine wesentlichen Sicherheitsprobleme festgestellt wurden.

Über das Down-Syndrom

Down-Syndrom bzw. Trisomie 21 ist die häufigste genetische Ursache für geistige Behinderung und Entwicklungsverzögerung und betrifft eines von 700 Neugeborenen. Das Syndrom entsteht, wenn bei einem Menschen das 21. Chromosom dreimal anstatt zweimal vorhanden ist. Dieses zusätzliche Erbmateriale hat eine Beeinträchtigung der kognitiven Fähigkeiten und des körperlichen Wachstums zur Folge und steht im Zusammenhang mit weiteren medizinischen Problemen, die von neurologischen Störungen und Herzfehlern über Beeinträchtigungen des Hör- und Sehvermögens bis hin zur vorzeitigen Entwicklung von Alzheimer reichen. Die durchschnittliche Lebenserwartung von Menschen mit Down-Syndrom ist von 25 Jahren in den 1980er Jahren auf etwa 60 Jahre heute gestiegen.

Über Alzheimer

Es wird zunehmend deutlich, dass sich Alzheimer infolge einer komplexen Verkettung von Ereignissen entwickelt, die über einen langen Zeitraum im Gehirn stattfinden. Zwei Proteine – Tau und Beta-Amyloide (Abeta) – gelten als Hauptanzeichen der Neurodegeneration: Tangles und andere anomale Formen des Tau-Proteins lagern sich in den Gehirnzellen ab und verbreiten sich zwischen diesen. Beta-Amyloid-Plaques und -Oligomere treten bei Personen mit Alzheimer ausserhalb der Gehirnzellen auf.

Aufgrund der dramatischen, steigenden weltweiten Inzidenzrate von einem Fall alle drei Sekunden und 9,9 Millionen Demenz-Fällen pro Jahr zählt Alzheimer zu den grössten gesellschaftlichen Belastungen unserer Zeit. Die Inzidenz- und Prävalenzraten steigen mit dem Alter. Angesichts der alternden Gesellschaft wird die Zahl der Patienten daher deutlich zunehmen. Im Jahr 2015 leben weltweit 46,8 Millionen Menschen mit Demenz. Bis 2050 werden sich die globalen Patientenzahlen voraussichtlich verdreifachen und auf 131,5 Millionen ansteigen. Schätzungen zufolge sind die jährlichen gesellschaftlichen und wirtschaftlichen Kosten von Demenzerkrankungen von USD 604 Milliarden im Jahr 2010 auf USD 818 Milliarden im Jahr 2015 angestiegen. In den USA steht Alzheimer unter den Todesursachen in allen Altersgruppen nun an sechster Stelle und bei den über 65 Jährigen an fünfter Stelle.

Über AC Immune

[AC Immune](#) ist ein führendes biopharmazeutisches Unternehmen mit Sitz in der Schweiz, das sich auf neurodegenerative Erkrankungen spezialisiert hat und derzeit drei Produkte in klinischen Studien prüft. Das Unternehmen entdeckt und entwickelt therapeutische und diagnostische Produkte zur Prävention und Modifikation von Erkrankungen, die durch falsch gefaltete Proteine verursacht werden. Die beiden unternehmenseigenen Technologieplattformen von AC Immune dienen der Entwicklung von Antikörpern, Impfstoffen und kleinen Molekülen, um ein breites Spektrum an neurodegenerativen Erkrankungen mit interessanten Märkten abzudecken. Die meisten Produkte des Unternehmens dienen der Behandlung von Alzheimer. Die innovativen, hochdifferenzierten und krankheitsmodifizierenden Therapien des Unternehmens sind jedoch in der Lage, einen Paradigmenwechsel auch bei der Behandlung von anderen neurodegenerativen Erkrankungen wie etwa der Parkinson-Krankheit, dem Down-Syndrom, und der Augenerkrankung Glaukom (Grüner Star) herbeizuführen. Das Unternehmen verfügt über eine umfassende, diversifizierte und vielversprechende Pipeline mit sieben therapeutischen und drei diagnostischen Produkten. Das am weitesten fortgeschrittene Produkt ist Crenezumab, ein Anti-Abeta-Antikörper, der an Genentech auslizenziert wurde und in die Phase III der klinischen Entwicklung eintritt. Crenezumab wurde vom US NIH zur Anwendung in der ersten Alzheimer-Präventionsstudie ausgewählt. AC Immune ist bei drei Programmen zur Behandlung des pathologischen Tau-Proteins Partnerschaften eingegangen: bei ACI-35 mit Janssen (therapeutischer Impfstoff, Phase Ib), bei Tau-PET-Tracern mit Piramal (Alzheimer-Diagnostikum) und bei Tau-Antikörpern mit Genentech (präklinische Phase). Der in der Phase I/IIa befindliche Anti-Abeta-Impfstoff ACI-24 wird betriebsintern entwickelt.

Über das Down Syndrome Research and Treatment Center der UC San Diego

Schwerpunkt des 2009 gegründeten Down Syndrome Research and Treatment Center ist die Bestimmung der Gene und Mechanismen, die für die kognitiven Probleme von Menschen mit Down-Syndrom verantwortlich sind. Die in der Forschung gewonnenen Einblicke stützen die Umsetzung grundlegender wissenschaftlicher Ergebnisse in neue Therapien, wobei entweder vorhandene Medikamente eingesetzt oder neue entdeckt werden. Der Arbeit des Down Syndrome Research and Treatment Center sind innovative Konzepte und mehrere neuartige Therapieziele zu verdanken. Zudem war sie Anregung für bestehende Studien wie auch die in dieser Pressemitteilung angekündigte Studie (die durch einen NIH-Grant mit der Vergabenummer R01AG047922 gefördert wird). Das Down Syndrome Research and Treatment Center wird von den NIH und privaten Stiftungen wie der LuMind Research Down Syndrome Foundation, der Alzheimer Association, dem Tau Consortium und dem Cure Alzheimer Fund unterstützt.

Über die LuMind Research Down Syndrome Foundation

Die [LuMind Research Down Syndrome Foundation](#), ehemals Down Syndrome Research and Treatment Foundation (DSRTF) und Research Down Syndrome, ist eine internationale gemeinnützige Organisation mit Sitz in Marlborough, Massachusetts/USA.

Ihr Ziel ist es, die Entwicklung von Therapien zu beschleunigen, die bei Menschen mit Down-Syndrom eine erhebliche Verbesserung der Kognition wie etwa Gedächtnis, Lernen und Sprechen ermöglichen. Die LuMind RDS Foundation ist die führende Quelle für die private Finanzierung zur Unterstützung der Kognitionsforschung im Bereich Down-Syndrom in großen Forschungszentren wie etwa Johns Hopkins Medicine, Stanford University, University of California, San Diego und University of Arizona. Seit ihrer Gründung 2004 hat die LuMind RDS Foundation über USD 13 Mio. für die Finanzierung ergebnisorientierter Forschungsprogramme bereitgestellt, die Kindern und Erwachsenen mit Down-Syndrom zugutekommen. Zudem spielte sie eine wesentliche Rolle bei der Initiierung von klinischen Studien, die derzeit durchgeführt werden.

**Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:
AC Immune**

Prof. Andrea Pfeifer Chief Executive Officer Tel: +41-21-693 91 21 E-mail: andrea.pfeifer@acimmune.com	Eva Schier Corporate Communications Manager Tel: +41-21-693 91 34 E-mail: eva.schier@acimmune.com
Nick Miles Senior Consultant Cabinet Privé de Conseils s.a. Tel : +41 79 678 76 26 E-mail : miles@cpc-pr.com	In the US Ted Agne The Communications Strategy Group Inc. Tel: +1 781 631 3117 E-mail: edagne@comstratgroup.com

UCSD

William C Mobley, M.D., Ph.D. Professor of Neurosciences, and Executive Director, Down Syndrome Research and Treatment Center Tel: +1 858-534-9434 E-mail: wmobley@ucsd.edu	Scott LaFee Director, Media Relations Marketing and Communications UC San Diego Health Sciences Tel : +1 619-543-6163 E-mail : mailto:slafee@ucsd.edu
--	--

LuMind Research Down Syndrome Foundation

Carolyn Cronin President/Chief Executive Officer Tel: (508) 630-2178 E-mail: ccronin@lumindrds.org	Ellen Oliver Marketing Director Tel: (508) 630-2179 E-mail: eoliver@lumindrds.org
Michael M. Harpold, PhD Chief Scientific Officer Tel: (520) 297-3105 E-mail: mharpold@lumindrds.org	