



COVID-19-Pandemie:

Vir und Alnylam identifizieren therapeutischen RNA-Interferenz-Wirkstoff für die weitere klinische Entwicklung

Wirkstoffkandidat VIR-2703 zielt auf SARS-CoV-2-Genom zur Behandlung von COVID-19

– Hochwirksamer und breit kreuzreaktiver therapeutischer RNAi-Entwicklungskandidat nur drei Monate nach Programmbeginn ermittelt –

– Die Unternehmen erwarten den Beginn klinischer Studien am Menschen um das Jahresende 2020 –

SAN FRANCISCO, Ca. & CAMBRIDGE, Mass. USA— 4. Mai 2020 — Vir Biotechnology, Inc. (Nasdaq: VIR) und Alnylam Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: ALNY) haben aus 350 potenziell für die Behandlung von COVID-19 geeigneten Molekülen eine Auswahl für einen Wirkstoffkandidaten für die weitere klinische Entwicklung getroffen. Bei der ausgewählten Entwicklungsplattform VIR-2703 (auch als ALN-COV bezeichnet) handelt es sich um ein RNA-Interferenz (RNAi)-Therapeutikum, das auf das SARS-CoV-2-Genom abzielt.

Die Unternehmen planen ein baldiges Treffen mit der U.S. Behörde für Lebens- und Arzneimittel (FDA) und anderen Regulierungsbehörden, um über einen möglichen beschleunigten Antragsweg für ein neues Prüfpräparat (Investigational New Drug, IND) oder eines IND-Äquivalents zum Jahresende 2020 zu beraten. Es ist geplant, VIR-2703 als Inhalationspräparat für die potenzielle Behandlung und/oder Prävention von COVID-19 zu entwickeln.

Während der Screening-Phase synthetisierte Alnylam über 350 *small interfering RNAs* (siRNAs) – also jene Moleküle, die RNA-Interferenz vermitteln. Die ausgewählten siRNAs zielen auf weitgehend unveränderliche Regionen des SARS-CoV-2-Genoms ab. Diese siRNAs wurden dann bioinformatisch analysiert und in in-vitro-Potenzanalysen bewertet. Es wurden mehrere hochwirksame siRNAs identifiziert, die in einem von Vir durchgeführten in-vitro-Modell des SARS-CoV-2-Lebendvirus eine 99,9%ige Verringerung der Virusvervielfältigung zeigten. In Dosis-Wirkungs-Analysen zeigte sich, dass die effektive Konzentration von VIR-2703 für eine 50%-ige Hemmung (EC50) im SARS-CoV-2-Lebendvirusmodell weniger als 100 Picomol beträgt (das entspricht ein Teilchen auf 10 Milliarden Teilchen). Um eine Hemmung von mehr als 95 Prozent (EC95) zu erreichen, war im Labor eine Wirkstoffkonzentration von weniger als 1 Nanomol nötig (weniger als ein Teilchen auf eine Milliarde Teilchen). Das SARS-CoV-2-Lebendvirusmodell misst die Hemmung der Produktion infektiöser Viren. Darüber hinaus konnte VIR-2703 die Reaktivität gegen mehr als 99,9 Prozent der über 4.300 SARS-CoV-2-Genome vorhersagen, die derzeit in öffentlichen Datenbanken verfügbar sind und den Analyseanforderungen entsprechen. Zudem wurde eine Reaktivität gegenüber dem SARS-CoV-Genom des SARS-Ausbruchs von 2003 vorhergesagt. Bei der Auswahl des Entwicklungskandidaten arbeiten Vir und

Alnylam eng zusammen, um die erforderlichen Daten für einen raschen Beginn der klinischen Studien zu generieren.

„Vir setzt sich für die Anwendung branchenführender Technologien im Kampf gegen COVID-19 ein. Unsere erfolgreiche und ausgedehnte Zusammenarbeit mit Alnylam hat dazu geführt, dass wir schnell einen Entwicklungskandidaten ausmachen konnten, der auf SARS-CoV-2 abzielt“, sagte Dr. George Scangos, Chief Executive Officer von Vir. „Mit diesem Kandidaten werden wir unsere Bemühungen weiter beschleunigen und planen den Beginn von Studien am Menschen gegen Ende dieses Jahres. Unser oberstes Ziel ist es, im Falle der Zulassung zeitnah einen weltweiten Zugang zu einem wirksamen Therapeutikum zur Bekämpfung von COVID-19 zu ermöglichen“, so Scangos weiter.

„Ich bin sehr stolz auf die Qualität und das Tempo, mit dem unsere Wissenschaftler und die Mitarbeiter von Vir einen RNAi-Kandidaten für die therapeutische Behandlung des SARS-CoV-2-Genoms identifizieren konnten.“, sagte Dr. John Maraganore, Chief Executive Officer von Alnylam. „Da sich diese Pandemie weiter ausbreitet, sind wir entschlossen, mit äußerster Dringlichkeit zu handeln und unsere Bemühungen zur Entwicklung von RNAi-Therapeutika gegen COVID-19 und möglicherweise zukünftigen Coronavirus-vermittelten Krankheiten auszuweiten und zu beschleunigen.“

Zusätzlich zu dem Entwicklungskandidaten, der auf das SARS-CoV-2-Genom abzielt, werden die Unternehmen Alnylams jüngste Fortschritte bei der Verabreichung von siRNAs in die Lunge nutzen. Dabei werden die Ziel-Gene im Respirationstrakt bei mehreren Zelltypen – darunter auch Zellen im Respirationstrakt, die möglicherweise die Ziele für eine SARS-CoV-2-Infektion darstellen – weitgehend unterdrückt. Darüber hinaus nutzen die Unternehmen das Fachwissen und die etablierten Fähigkeiten von Vir im Bereich der Infektionskrankheiten, um bis zu drei weitere Entwicklungskandidaten für Wirkstoffe zur Behandlung von COVID-19 und möglicherweise anderen Coronavirus-Erkrankungen voranzutreiben.

Über VIR-2703 (ALN-COV)

VIR-2703 ist eine inhalierbare, auf das SARS-CoV-2-Genom ausgerichtete siRNA, die für die Prävention und/oder Behandlung von COVID-19 nützlich sein könnte. Es nutzt die neuesten Fortschritte von Alnylam Pharmaceuticals, Inc. bei der Verabreichung von siRNAs in die Lunge und könnte auch auf andere Coronaviren anwendbar sein. VIR-2703 ist der erste Entwicklungskandidat, der im Rahmen der erweiterten Zusammenarbeit von Vir mit Alnylam für bis zu vier potenzielle RNAi-Therapeutika für COVID-19 ausgewählt wurde.

Über RNAi

RNAi (RNA-Interferenz) ist ein natürlicher, zellulärer Prozess zur Regulation bis hin zur Abschaltung von Genen. RNAi stellt derzeit einen der vielversprechendsten und am schnellsten voranschreitenden Forschungsbereiche in Biologie und Arzneimittelentwicklung dar. Ihre Entdeckung wurde als ein bedeutender wissenschaftlicher Durchbruch, der vielleicht einmal pro Dekade vorkommt, begrüßt und 2006 durch die Verleihung des Nobelpreises für Physiologie oder Medizin ausgezeichnet. Durch Nutzung des natürlichen biologischen Prozesses der RNAi in unseren Zellen ist nun eine neue Klasse von Medikamenten, die als RNAi-Therapeutika bezeichnet werden, Realität geworden. Kleine interferierende RNA (small interfering RNA, siRNA), die Moleküle, die RNAi vermitteln und Bestandteil der therapeutischen RNAi-Plattform von Alnylam sind, funktionieren auf einer den heutigen Medikamenten vorgelagerten Ebene durch wirksame Herunterregulierung der Messenger-RNA (mRNA) – Überträger der genetischen Information, die die krankheitsauslösenden Proteine kodiert – und verhindern auf diese

Weise deren Bildung. Es handelt sich hier um einen bahnbrechenden Ansatz mit dem Potenzial, die Versorgung von Patienten mit genetischen und anderen Erkrankungen zu verbessern.

Über Vir Biotechnology

Vir Biotechnology ist ein Unternehmen für Immunologie in der klinischen Phase, das sich darauf konzentriert, immunologische Erkenntnisse mit Spitzentechnologien zur Behandlung und Prävention schwerer Infektionskrankheiten zu kombinieren. Vir hat vier Technologieplattformen zusammengestellt, die das Immunsystem durch die Nutzung kritischer Beobachtungen natürlicher Immunprozesse stimulieren und verbessern sollen. Seine derzeitige Entwicklungspipeline besteht aus Produktkandidaten, die auf das Hepatitis-B-Virus, Influenza A, SARS-CoV-2, das menschliche Immunschwächevirus und Tuberkulose abzielen. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.vir.bio.

Zukunftsgerichtete Aussagen von Vir

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Wörter wie „können“, „werden“, „erwarten“, „planen“, „antizipieren“, „glauben“, „schätzen“, „beabsichtigen“, „potenziell“, „vielversprechend“, „vorhersagen“ und ähnliche Ausdrücke (sowie andere Wörter oder Ausdrücke, die sich auf zukünftige Ereignisse, Bedingungen oder Umstände beziehen) sollen zukunftsgerichtete Aussagen kennzeichnen. Diese zukunftsgerichteten Aussagen basieren auf Virs Erwartungen und Annahmen zum Zeitpunkt der Veröffentlichung dieser Pressemitteilung. Jede dieser vorausblickenden Aussagen ist mit Risiken und Ungewissheiten verbunden. Die tatsächlichen Ergebnisse können erheblich von diesen vorausblickenden Aussagen abweichen. Zu den in dieser Pressemitteilung enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen gehören Aussagen zu den potenziellen Vorteilen der Zusammenarbeit mit Alnylam, zu den Plänen des Unternehmens, einen beschleunigten Weg zur Einreichung eines Prüfpräparat-Antrags (Investigational New Drug, IND) zu beschreiten, VIR-2703 für die Prophylaxe und Behandlung von COVID-19 voranzutreiben und Studien am Menschen zu beginnen, zum Zeitplan für die Umsetzung solcher Pläne und zum Beginn klinischer Studien, Virs Fähigkeit, neue, auf Wirtsfaktoren abzielende Entwicklungskandidaten zur Behandlung von COVID-19 und anderen Coronavirus-Krankheiten zu identifizieren, die potenziellen antiviralen Wirkungen von siRNAs, die auf menschliche Wirtsfaktoren abzielen, die vorausgesagte Reaktivität von VIR-2703 gegen SARS-CoV- und SARS-CoV-2-Genome, unabhängig davon, ob Entwicklungskandidaten erfolgreich entwickelt und kommerzialisiert werden oder nicht, und Virs Fähigkeit, die COVID-19-Pandemie zu bekämpfen. Viele Faktoren können Unterschiede zwischen den aktuellen Erwartungen und den tatsächlichen Ergebnissen verursachen, darunter Verzögerungen oder Unterbrechungen unserer geschäftlichen oder klinischen Studien aufgrund der COVID-19-Pandemie, unerwartete Sicherheits- oder Wirksamkeitsdaten, die während präklinischer oder klinischer Studien beobachtet wurden, Herausforderungen bei der Identifizierung und Auswahl von Entwicklungskandidaten, Herausforderungen bei der Identifizierung neuer Wirtsfaktoren, die für eine Coronavirus-Infektion relevant sind, Schwierigkeiten bei der Zusammenarbeit mit anderen Unternehmen oder Regierungsbehörden, Schwierigkeiten bei der Sicherung von Treffen mit den Regulierungsbehörden, Herausforderungen bei der Generierung der Daten, die für einen beschleunigten Beginn klinischer Studien erforderlich sind, und Herausforderungen beim Zugang zu Produktionskapazitäten und der Entwicklung von Behandlungen für Infektionskrankheiten. Andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse von den in den zukunftsgerichteten Aussagen dieser Pressemitteilung ausgedrückten oder implizierten abweichen, werden in Virs Einreichungen bei der U.S. Securities and Exchange Commission erörtert, einschließlich des darin enthaltenen Abschnitts mit dem Titel „Risikofaktoren“. Sofern nicht gesetzlich vorgeschrieben, übernimmt Vir keine Verpflichtung, hierin enthaltene zukunftsgerichtete Aussagen zu aktualisieren, um Änderungen der Erwartungen widerzuspiegeln, selbst wenn neue Informationen verfügbar werden.

Über Alnylam

Alnylam (Nasdaq: ALNY) ist führend bei der Translation der RNA-Interferenz (RNAi) in eine neue Klasse innovativer Medikamente, die das Potenzial haben, das Leben von Menschen, die an seltenen genetischen, kardiometabolischen, hepatischen, infektiösen und Erkrankungen des zentralen Nervensystems/ der Augen leiden, grundlegend zu verändern. Basierend auf wissenschaftlichen Erkenntnissen, die mit dem Nobelpreis ausgezeichneten wurden, stellen RNAi-Therapeutika einen starken, klinisch validierten Ansatz für die Behandlung von Erkrankungen mit einem hohen unerfüllten medizinischen Bedarf dar. Alnylam wurde 2002 gegründet und verwirklicht mit einer starken Plattform für RNAi-Therapeutika eine mutige Vision, um wissenschaftliche Möglichkeiten in die Realität umzusetzen. Die kommerziellen RNAi-Therapeutika von Alnylam sind ONPATTRO® (Patisiran), das in den USA, der EU, Kanada, Japan, der Schweiz und Brasilien zugelassen ist, und GIVLAARI® (Givosiran), das in den USA und der EU zugelassen ist. Alnylam verfügt über eine umfangreiche Pipeline von Prüfpräparaten, darunter sechs Produktkandidaten, die sich in der späten Entwicklungsphase befinden. Alnylam setzt seine "Alnylam 2020"-Strategie um, ein biopharmazeutisches Unternehmen mit einer nachhaltigen Pipeline von Medikamenten auf RNAi-Basis aufzubauen, um die Bedürfnisse von Patienten mit begrenzten oder ungenügenden Behandlungsmöglichkeiten zu erfüllen. Alnylam hat seinen Hauptsitz in Cambridge, Massachusetts (USA). Für weitere Informationen über unsere Mitarbeiter, Forschungstätigkeit und Produktpipeline besuchen Sie bitte www.alnylam.com und folgen Sie uns auf Twitter unter @Alnylam oder auf LinkedIn.

Zukunftsgerichtete Aussagen von Alnylam

Verschiedene Aussagen in dieser Mitteilung, die Alnylams zukünftige Erwartungen, Pläne und Aussichten betreffen, einschließlich, ohne Einschränkung, Alnylams Ansichten und Pläne in Bezug auf das Potenzial für RNAi-Therapeutika, einschließlich der Übertragung der jüngsten präklinischen Fortschritte bei der Verabreichung von siRNAs in die Lunge auf den Menschen, Pläne bezogen sich auf Inhalationsformulierungen von siRNAs, das Potenzial für siRNAs, einschließlich des ausgewählten Entwicklungskandidaten ALN-COV (VIR-2703), die auf hochkonservierte Regionen von SARS-CoV-2 - dem Virus, das COVID-19 verursacht - abzielen, und andere siRNAs, die auf menschliche Wirtsfaktoren für COVID-19 und möglicherweise andere Coronaviren abzielen, seine Erwartungen hinsichtlich eines möglichen beschleunigten Weges für die Einreichung einer Prüfpräparat-Antrags (Investigational New Drug, IND) für die Weiterentwicklung von ALN-COV (VIR-2703) in der Klinik, seine Fähigkeit zur Zusammenarbeit mit Vir bei der Bekämpfung der COVID-19-Pandemie oder anderer Ausbrüche des Coronavirus und die Erwartungen hinsichtlich der weiteren Umsetzung seiner "Alnylam 2020"-Anleitung für die Weiterentwicklung und Kommerzialisierung von RNAi-Therapeutika stellen zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne der Safe-Harbor-Bestimmungen des Private Securities Litigation Reform Act von 1995 dar. Tatsächliche Ergebnisse und Zukunftspläne können sich aufgrund verschiedener wichtiger Risiken, Ungewissheiten und anderer Faktoren erheblich von den in diesen zukunftsgerichteten Aussagen angegebenen unterscheiden, einschließlich, jedoch nicht beschränkt auf: direkte oder indirekte Auswirkungen auf Alnylams Geschäft, Aktivitäten und Aussichten als Folge der COVID-19-Pandemie oder daraus resultierende Verzögerungen oder Unterbrechungen und den Erfolg von Alnylams Bemühungen zur Schadensbegrenzung; Alnylams Fähigkeit, in Zusammenarbeit mit Vir eine rasche Weiterentwicklung von ALN-COV und anderen potentiellen Entwicklungskandidaten in Humanstudien zu ermöglichen; Alnylams Fähigkeit, weitere neuartige Arzneimittelkandidaten zu entdecken und zu entwickeln, einschließlich Kandidaten, die auf das SARS-CoV-2-Genom und/oder Wirtsfaktoren für die SARS-CoV-2-

Infektion abzielen, sowie Verabreichungsansätze, einschließlich in die Lunge und unter Verwendung intranasaler und/oder inhalativer Formulierungen; seine Fähigkeit, die Wirksamkeit und Sicherheit seiner Produktkandidaten, einschließlich ALN-COV und anderer potenzieller Kandidaten, die auf das SARS-CoV-2-Genom und/oder Wirtsfaktoren für eine SARS-CoV-2-Infektion abzielen, erfolgreich nachzuweisen; die präklinischen und klinischen Ergebnisse für seine Produktkandidaten, die möglicherweise nicht repliziert werden oder in anderen Probanden oder in zusätzlichen Studien weiterhin auftreten oder anderweitig die weitere Entwicklung von Produktkandidaten für eine bestimmte Indikation oder überhaupt unterstützen; Maßnahmen oder Ratschläge von Zulassungsbehörden, die sich auf die Planung, den Beginn, die zeitliche Planung, die Fortsetzung und/oder den Fortschritt klinischer Studien auswirken können, einschließlich der Fähigkeit, den Beginn und den Abschluss klinischer Studien von Kandidaten, die auf das SARS-CoV-2-Genom und/oder Wirtsfaktoren für die SARS-CoV-2-Infektion abzielen, zu beschleunigen, oder die Notwendigkeit zusätzlicher vorklinischer und/oder klinischer Tests zur Folge haben können; Verzögerungen, Unterbrechungen oder Fehler bei der Herstellung und Lieferung ihrer Produktkandidaten oder ihrer vermarkteten Produkte; Erlangung, Aufrechterhaltung und Schutz geistigen Eigentums; Angelegenheiten des geistigen Eigentums, einschließlich möglicher Patentstreitigkeiten in Bezug auf ihre Plattform, Produkte oder Produktkandidaten; die Erlangung der behördlichen Genehmigung für ihre Produktkandidaten, einschließlich Lumasiran und aller Produktkandidaten, die auf das SARS-CoV-2-Genom und/oder Wirtsfaktoren für die SARS-CoV-2-Infektion abzielen, und die Aufrechterhaltung der behördlichen Genehmigung sowie die Erlangung von Preisen und Rückerstattungen für ihre Produkte, einschließlich ONPATTRO und GIVLAARI; Fortschritte bei der weiteren Etablierung einer kommerziellen und aus den Vereinigten Staaten stammenden Infrastruktur; Erfolgreiche weltweite Einführung, Vermarktung und Verkauf seiner zugelassenen Produkte, einschließlich ONPATTRO und GIVLAARI, und Erzielung von Nettoprodukteinnahmen für ONPATTRO innerhalb seiner erwarteten Reichweite im Jahr 2020; Alnylams Fähigkeit, die Indikation für ONPATTRO in Zukunft erfolgreich auszuweiten; Konkurrenz durch andere, die eine ähnliche Technologie wie Alnylam verwenden und andere, die Produkte für ähnliche Anwendungen entwickeln; Alnylams Fähigkeit, sein Wachstum und seine Betriebsausgaben im Rahmen seiner erwarteten Prognosen zu steuern und in Zukunft ein selbsttragendes Finanzprofil zu erreichen, ohne dass eine zukünftige Eigenkapitalfinanzierung erforderlich ist; Alnylams Fähigkeit, strategische Geschäftsallianzen und neue Geschäftsinitiativen aufzubauen und aufrechtzuerhalten; Alnylams Abhängigkeit von Dritten, einschließlich Vir, für die Entwicklung von Kandidaten für die Behandlung von Infektionskrankheiten, einschließlich COVID-19, und die Kommerzialisierung aller daraus resultierenden Produkte für Infektionskrankheiten; Regeneron für die Entwicklung, Herstellung und den Vertrieb bestimmter Produkte, einschließlich Augen- und ZNS-Produkte, und Ironwood für die Unterstützung bei der Aufklärung über und Förderung von GIVLAARI in der EU. S.; den Ausgang von Rechtsstreitigkeiten; das Risiko von Regierungsuntersuchungen; und unerwartete Ausgaben sowie die Risiken, die in den "Risikofaktoren", die im jüngsten Jahresbericht von Alnylam auf Formular 10-K bei der Securities and Exchange Commission (SEC) eingereicht wurden, und in anderen Einreichungen, die Alnylam bei der SEC vorlegt, ausführlicher erörtert werden. Darüber hinaus stellen alle zukunftsgerichteten Aussagen nur die Ansichten von Alnylam zum heutigen Zeitpunkt dar und sollten nicht als Darstellung der Ansichten von Alnylam zu einem späteren Zeitpunkt angesehen werden. Alnylam lehnt ausdrücklich jegliche Verpflichtung zur Aktualisierung zukunftsgerichteter Aussagen ab, es sei denn, dies ist gesetzlich vorgeschrieben.

Vir Biotechnology

Investorenanfragen

Neera Ravindran, M.D.

+1 415 506 5256

nravindran@vir.bio

Medienanfragen

Lindy Devereux

+1 646 515 5730

lindy@scientpr.com

Alnylam Pharmaceuticals, Inc.

Christine Regan Lindenboom

(Investoren und Medien)

617-682-4340

Josh Brodsky

(Investoren)

617-551-8276

Source: Alnylam Pharmaceuticals, Inc.