

27.04.2018 – 10:00 Uhr

Wirkungsweise des mitochondrialen Arzneimittelkandidaten KH176, der sich in der klinischen Phase befindet: zwei Fliegen mit einem Streich

Niederlande (ots/PRNewswire) -

Khondrion, ein führendes pharmazeutisches Unternehmen, das sich mit Kleinmolekül-Therapeutika für mitochondriale Krankheiten in der klinischen Phase beschäftigt, gab heute die Veröffentlichung eines wissenschaftlichen Artikels bekannt, in dem über die Entwicklung und einzigartige Wirkungsweise von KH176 berichtet wird, einem im klinischen Stadium befindlichen Arzneimittelkandidaten für die Behandlung von mitochondrialen Krankheiten.

Informationen zur Studie

Die Arbeit wurde vom Team für Forschung und Entwicklung von Khondrion in Zusammenarbeit mit Inoviem Scientific und dem Radboud University Medical Center durchgeführt. Die Ergebnisse wurden in Scientific Reports (<http://www.nature.com/articles/s41598-018-24900-3>) veröffentlicht.

KH176 ist ein oral bioverfügbares kleines Molekül, das sich bei Khondrion in Entwicklung befindet und der Behandlung von mitochondrialen (oder damit in Verbindung stehenden) Krankheiten dienen soll. Die vorliegende Studie berichtet über die frühe Entwicklung und Auswahl von KH176 als Lead-Kandidat von Khondrion und erklärt im Weiteren seine Wirkungsweise in den Primärzellen, die von mitochondrialen Patienten entnommen wurden. "Erhöhtes Vorkommen von reaktiven Sauerstoffarten (ROS) und eine hohe Empfindlichkeit gegenüber Redox-Stress sind zwei häufige zelluläre Folgen der mitochondrialen Erkrankung. Interessanterweise konnten wir an mehreren von Patienten entnommenen Zellen demonstrieren, dass KH176 ein attraktiver Kandidat ist, um beide pathologischen Phänotypen zu korrigieren, was sein einzigartiges Potenzial für diese Patientengruppe illustriert", sagt Dr. Julien Beyrath, Chief Operating Officer bei Khondrion und Hauptautor der Studie. KH176 zeigt eine duale Wirkungsweise, die sowohl auf ROS- als auch Redox-Störungen abzielt. "Mit modernster Ziel-Dekonvolutionstechnologie konnten wir das Enzym Peroxiredoxin als primäres und neuartiges Ziel von KH176 identifizieren", fügte Dr. Beyrath hinzu. Die Forschung ist im Gange, um den genauen molekularen Mechanismus der Interaktion von KH176 mit dem Enzym Peroxiredoxin zu erkunden, was dem Forschungs- und Entwicklungsteam von Khondrion helfen wird, seine Arzneimittelkandidaten weiter zu verbessern. "Die vorgestellten Ergebnisse zeigen das Potenzial von KH176, als ein einzelnes Molekül nicht nur bei einer großen Gruppe von heterogenen mitochondrialen Erkrankungen Wirkung zu zeigen, sondern auch bei anderen Krankheiten mit zugrunde liegenden ROS- und Redox-Störungen", fügt Prof. Dr. Jan Smeitink, CEO von Khondrion und der letzte Autor der Studie, hinzu.

Über KH176

Es wurde bereits nachgewiesen, dass KH176 bei einem relevanten Maus-Modell der Leigh-Krankheit, einer der schwersten mitochondrialen Krankheiten, spezifische pathologische Phänotypen retten kann. (De Haas, Scientific Reports, 15.09.2017;7(1):11733 (<https://www.nature.com/articles/s41598-017-09417-5>)). Khondrion berichtete auch, dass KH176 ein günstiges Pharmakokinetik-Profil und ein akzeptables Sicherheitsprofil bei randomisierten, placebokontrollierten doppelblinden klinischen Studien der Phase I demonstrierte, die an gesunden männlichen Freiwilligen durchgeführt wurden. (Koene et al, Orphanet Journal of Rare Diseases, 16.10.2017;12(1):163 (<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-017-0715-0>)).

Die Wirksamkeit und die Sicherheit von KH176 wurden bei der KHENERGY Studie ausgewertet, einer explorativen Phase-II-Studie mit oraler Gabe von KH176 bei Patienten mit m. 3243A > G multisystematischen mitochondrialen MELAS- und MIDD-Syndromen und gemischten Phänotypen. Basierend auf dem Ergebnis der KHENERGY-Studie (siehe frühere Pressemitteilung (<http://www.khondrion.com/News-detail/4053/59659/Khondrion-presents-Phase-II-KHENERGY-trial-data.html?publicationdate=True>)) bereitet das Unternehmen ein zentrales Programm vor, um die potenziellen Vorteile von KH176 bei Patienten mit der mitochondrialen Erkrankung zu bestätigen.

Über Khondrion

Khondrion ist ein führendes klinisch-pharmazeutisches Unternehmen mit Schwerpunkt auf der Entwicklung von Kleinmolekül-Therapeutika für mitochondriale (und damit in Verbindung stehende) Krankheiten. Zurzeit wird gerade das Potenzial von mehreren Leitstrukturen als neue Behandlungsmodalität für die mitochondriale Erkrankung erforscht. Khondrions KH176 wurde in Europa die Orphan-Drug-Bezeichnung (ODD) für die Leigh-Krankheit und das MELAS-Syndrom verliehen und in den USA für alle vererblichen mitochondrialen Atemwegserkrankungen. Khondrion hat Kooperationen mit Patientenorganisationen, Patienteninteressengruppen, Sachverständigen von Universitätszentren und Forschungsgruppen auf der ganzen Welt aufgebaut. Das Unternehmen wird von den niederländischen Stiftungen Energy4All, Join4Energy, Road4Energy, Ride4Kids, Tim Foundation, dem Zeldzame Ziekten Fonds sowie nationalen und europäischen Regierungen unterstützt. Khondrion ist in einer starken Position, was sein geistiges Eigentum betrifft, und schützt sein Portfolio an neuen Produkten über bewilligte und mehrfache, breit angelegte Patentanmeldungen. Weitere Informationen erhalten Sie hier: <http://www.khondrion.com>

Warnhinweise über zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen. Alle Aussagen, mit Ausnahme von historischen Tatsachen, die in dieser Pressemitteilung enthalten sind, einschließlich Aussagen über unsere Strategie, zukünftige Operationen, zukünftige Finanzlage, zukünftige Umsätze, voraussichtliche Kosten, Aussichten, Pläne und Ziele des Vorstands, sind zukunftsgerichtete Aussagen. Die Wörter "antizipieren", "glauben", "schätzen", "erwarten", "beabsichtigen", "könnte", "planen", "prognostizieren", "projizieren", "anstreben", "potenziell", "wird", "würde", "könnte", "sollte", "weiterhin", und ähnliche Ausdrücke sollen der Kenntlichmachung von zukunftsgerichteten Aussagen dienen; allerdings beinhalten nicht alle zukunftsgerichteten Aussagen diese kennzeichnenden Wörter. Alle zukunftsgerichteten Aussagen stellen nur unsere Ansichten am heutigen Tag dar und Sie sollten sich nicht darauf verlassen, dass wir diese Ansichten auch zu einem späteren Zeitpunkt vertreten werden. Sollten sich die zugrundeliegenden Annahmen als fehlerhaft erweisen, oder sollten sich unbekannte Risiken oder Ungewissheiten ergeben, könnte dies dazu führen, dass die tatsächlich eintretenden Ergebnisse wesentlich von den Erwartungen und Prognosen von Khondrion abweichen. Die Risiken und Unsicherheiten umfassen, sind aber nicht beschränkt auf: Herausforderungen und Unsicherheiten bei der Produktentwicklung, einschließlich der Unsicherheiten des klinischen Erfolges und des Zeitplans für die Verfügbarkeit von KH176. Während wir uns entscheiden können, diese zukunftsgerichteten Aussagen in der Zukunft zu aktualisieren, lehnen wir ausdrücklich jede Verpflichtung ab, dies zu tun, selbst wenn sich unsere Ansichten ändern.

Kontakt:

Khondrion BV
Prof. dr. Jan Smeitink
CEO
E-Mail: info@khondrion.com
Tel.: +31-24-361-0639
<http://www.khondrion.com>

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100063239/100814950> abgerufen werden.