

## BioNTech und OncoC4 starten zulassungsrelevante Phase-3-Studie mit BNT316/ONC-392-Programm bei metastasiertem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom

Juni 29, 2023

- Der Start der zulassungsrelevanten Phase-3-Studie für nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom ist ein wichtiger erster Schritt in BioNTechs und OncoC4s strategischer Kollaboration, die im März 2023 abgeschlossen wurde, um BNT316/ONC-392 in verschiedenen soliden Tumorindikationen zu evaluieren
- Die randomisierte Phase-3-Studie soll rund 600 Patientinnen und Patienten mit metastasiertem, immuntherapieresistentem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom umfassen; die Patientenrekrutierung erfolgt zunächst in den Vereinigten Staaten und anschließend auch in Europa und anderen Ländern und Regionen
- Der Studienbeginn folgt auf die Erteilung des Fast-Track-Status durch die FDA im Jahr 2022, die auf Phase-1/2-Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit von BNT316/ONC-392 als Monotherapie in metastasiertem, immuntherapieresistentem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom basiert
- Die zulassungsrelevante klinische Evaluierung von BNT316/ONC-392 ist Teil von BioNTechs Strategie, in den Jahren 2023 und 2024 mehrere Studien mit Zulassungspotential zu initiieren

**MAINZ, Deutschland, und ROCKVILLE, Maryland, USA, 29. Juni 2023 (GLOBE NEWSWIRE)** — [BioNTech SE](#) (Nasdaq: BNTX, „BioNTech“) und [OncoC4, Inc.](#) („OncoC4“) gaben heute bekannt, dass der erste Patient mit nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom in einer zulassungsrelevanten Phase-3-Studie zur Evaluierung des innovativen Anti-CTLA-4-Antikörperkandidaten BNT316/ONC-392 (Gotistobart) der beiden Unternehmen behandelt wurde. Die Studie ist Teil von BioNTechs Strategie, mehrere zulassungsrelevante Studien in den Jahren 2023 und 2024 zu initiieren.

Die zweistufige, nicht-verblindete, randomisierte Phase-3-Studie, PRESERVE-003 ([NCT05671510](#)), wird die Wirksamkeit und Sicherheit von BNT316/ONC-392 als Monotherapie im Vergleich zum Behandlungsstandard, einer Chemotherapie (Docetaxel), bei Patientinnen und Patienten mit metastasiertem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom untersuchen, deren Erkrankung unter einer vorherigen PD-(L)1-Inhibitor-Therapie weiter fortschritt. Rund 600 Patientinnen und Patienten sollen an klinischen Studienzentren in den Vereinigten Staaten, Europa und anderen Ländern und Regionen aufgenommen werden, darunter Belgien, Deutschland, Italien, Spanien und die Türkei. Der primäre Endpunkt ist das Gesamtüberleben (*overall survival*). Zu den sekundären Endpunkten gehören die Gesamtansprechrate (*overall response rate*), das progressionsfreie Überleben (*progression-free survival*) und das Nebenwirkungsprofil (*adverse event profile*). Das Programm erhielt 2022 den Fast-Track-Status von der U.S.-amerikanischen Arzneimittelbehörde (U.S. Food and Drug Administration, „FDA“) und stellt einen innovativen Ansatz dar, um das volle Potenzial von Therapien, die gegen CTLA-4 gerichtet sind, auszuschöpfen.

„Wir glauben, dass dieser Produktkandidat das Potenzial hat, eine neue Behandlungsoption für Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittenem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom zu werden, die ansonsten eine schlechte Prognose hätten. Aufgrund seiner spezifischen Wirkungsweise könnte dieser Therapieansatz möglicherweise auch in einer synergistischen Kombination mit anderen Immuntherapeutika eingesetzt werden, um die Behandlungschancen auch für weitere Patientenpopulationen zu verbessern“, sagte **Prof. Dr. Özlem Türeci, Chief Medical Officer und Mitgründerin von BioNTech**. „Wir arbeiten mit hoher Priorität daran, mehrere Produktkandidaten unserer Onkologie-Pipeline zügig in Richtung der späten Entwicklungsphase in Krebsindikationen mit hohem medizinischem Bedarf voranzutreiben.“

„Der heutige Tag ist ein bedeutender Meilenstein für das differenzierte Programm, das wir mit BNT316/ONC-392 entwickelt haben. Es zielt darauf ab, die derzeitigen Herausforderungen von Krebstherapeutika, die gegen CTLA-4 gerichtet sind, zu überwinden. Hierzu gehört insbesondere das sehr enge therapeutische Fenster, das diese Therapieansätze daran hindert, ihr volles Potenzial zu entfalten“, sagte **Dr. Dr. Pan Zheng, Chief Medical Officer und Mitgründerin von OncoC4**. „In weniger als drei Jahren haben wir das Programm von der ersten Anwendung im Menschen bis zum Start der Phase-3-Evaluierung gebracht. Wir hoffen, dass die Ergebnisse dieser Studie die bisherigen Wirksamkeitsdaten weiter unterstützen.“

Der Beginn der Phase-3-Studie basiert auf positiven Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit aus einer laufenden Phase-1/2-Studie ([NCT04140526](#)) mit BNT316/ONC-392 als Monotherapie sowie in Kombination mit Pembrolizumab bei Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren. Ein Daten-Update, das [auf der diesjährigen Jahrestagung der American Society of Clinical Oncology \(ASCO\)](#) vorgestellt wurde, zeigt eine ermutigende Anti-Tumor-Aktivität und ein kontrollierbares Sicherheitsprofil für BNT316/ONC-392 in einer Patientenkohorte mit metastasiertem, anti-PD-(L)1-resistentem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom.

Der Beginn der Phase-3-Studie ist ein wichtiger erster Schritt in der strategischen Kollaboration zwischen BioNTech und OncoC4, die [im März 2023](#) geschlossen wurde. Im Rahmen der Kollaborationsvereinbarung erhielt OncoC4 eine Vorauszahlung in Höhe von 200 Millionen US-Dollar und hat Anspruch auf Entwicklungs-, regulatorische und kommerzielle Meilensteinzahlungen sowie auf gestaffelte Lizenzgebühren im zweistelligen Prozentbereich. BioNTech und OncoC4 werden BNT316/ONC-392 als Monotherapie sowie in Kombination mit anti-PD-(L)1-Antikörpern für verschiedene solide Tumorindikationen gemeinsam bis hin zur Zulassung entwickeln, wobei die beiden Unternehmen die Entwicklungskosten für entsprechende Studien zu gleichen Teilen übernehmen werden. Alle Kombinationstherapien, die über die PD-1-Hemmung hinausgehen, insbesondere alle Kombinationen, die einen Wirkstoff aus BioNTechs Pipeline enthalten, werden ausschließlich von BioNTech entwickelt. BioNTech wird die exklusiven weltweiten Kommerzialisierungsrechte für jedes dieser Produkte halten, wobei die Beteiligung von OncoC4 an ausgewählten Märkten künftig verhandelt werden soll.

### Über BNT316/ONC-392

BNT316/ONC-392 (Gotistobart) ist ein innovativer Anti-CTLA-4-Antikörperkandidat, der gemeinsam von BioNTech und OncoC4 entwickelt wird. BNT316/ONC-392 befindet sich derzeit in der fortgeschrittenen klinischen Entwicklung als Mono- oder Kombinationstherapie in verschiedenen Krebsindikationen. Der Immuncheckpoint-Rezeptor CTLA-4 hemmt die Immunantwort der T-Zellen und reduziert die Aktivität von T-Zellen, mit denen sie Krebszellen erkennen und eliminieren können.<sup>1</sup> Dieser Mechanismus wird auch von Krebszellen ausgenutzt und verhindert, dass sie von den

T-Zellen eliminiert werden.<sup>2</sup> Die Hemmung von CTLA-4 kann dazu beitragen, die T-Zell-Aktivität zu erhalten und die Anti-Tumor-Wirkung zu verstärken. BNT316/ONC-392 wurde mit dem Ziel entwickelt, diesen Mechanismus zu nutzen und gleichzeitig das Recycling von CTLA-4 und damit die Funktion immunsuppressiver regulatorischer T-Zellen („Tregs“) im peripheren Gewebe zu erhalten. Ziel dieses Ansatzes, der sich derzeit in der klinischen Evaluation befindet, ist es, das Auftreten von immunbedingten unerwünschten Ereignissen zu verringern und das Sicherheitsprofil zu verbessern. BNT316/ONC-392 wird derzeit in einer laufenden Phase-1/2-Studie PRESERVE-001, ([NCT04140526](#)) bei Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren als Monotherapie oder in Kombination mit Pembrolizumab untersucht. Eine laufende zulassungsrelevante Phase-3-Studie, PRESERVE-003 ([NCT05671510](#)), evaluiert den Produktkandidaten als Monotherapie in einer Patientenkohorte mit metastasiertem, immuntherapieresistentem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom. Darüber hinaus wird der Kandidat in einer weiteren Phase-2-Studie als Kombinationstherapie mit Pembrolizumab bei Platin-resistentem Eierstockkrebs untersucht ([NCT05446298](#)).

### Über nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom

Nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (*non-small cell lung cancer*, „NSCLC“) umfasst alle epithelialen Lungenkrebsarten außer dem kleinzelligen Lungenkarzinom und schließt Plattenepithelkarzinome, großzellige Karzinome und Adenokarzinome ein. Mit einem Anteil von bis zu 85 % aller Fälle, ist es die häufigste Form von Lungenkrebs.<sup>3</sup> Risikofaktoren wie Rauchen, Asbestexposition und Lungenfibrose begünstigen eine Krankheitsentstehung.<sup>4</sup> Die relative 5-Jahres-Überlebensrate beträgt in den Vereinigten Staaten 23 % (2012-2018), was diese Krebserkrankung mit den aktuell begrenzten Behandlungsmöglichkeiten je nach Stadium und Lokalisation des Tumors zu einer schwerwiegenden Erkrankung macht.<sup>4</sup> Die derzeitige Standardbehandlung beinhaltet die chirurgische Entfernung des Tumors sowie Strahlentherapie in Kombination mit Chemotherapie und Immuntherapie.<sup>5</sup>

### Über BioNTech

Biopharmaceutical New Technologies (BioNTech) ist ein Immuntherapie-Unternehmen der nächsten Generation, das bei der Entwicklung von Therapien für Krebs und andere schwere Erkrankungen Pionierarbeit leistet. Das Unternehmen kombiniert eine Vielzahl an modernen therapeutischen Plattformen und Bioinformatik-Tools, um die Entwicklung neuartiger Biopharmazeutika rasch voranzutreiben. Das diversifizierte Portfolio an onkologischen Produktkandidaten umfasst individualisierte Therapien sowie off-the-shelf-Medikamente auf mRNA-Basis, innovative chimäre Antigenrezeptor (CAR)-T-Zellen, bispezifische Immuncheckpoint-Modulatoren, zielgerichtete Krebsantikörper und Small Molecules. Auf Basis seiner umfassenden Expertise bei der Entwicklung von mRNA-Impfstoffen und unternehmenseigener Herstellungskapazitäten entwickelt BioNTech neben seiner vielfältigen Onkologie-Pipeline gemeinsam mit Kollaborationspartnern verschiedene mRNA-Impfstoffkandidaten für eine Reihe von Infektionskrankheiten. BioNTech arbeitet Seite an Seite mit weltweit renommierten Kooperationspartnern aus der pharmazeutischen Industrie, darunter DualityBio, Fosun Pharma, Genentech (ein Unternehmen der Roche Gruppe), Genevant, Genmab, OncoC4, Regeneron, Sanofi und Pfizer.

Weitere Information finden Sie unter: [www.BioNTech.de](http://www.BioNTech.de)

### Über OncoC4

OncoC4 mit Sitz in Rockville, Maryland, ist ein privates biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Erforschung und Entwicklung innovativer Biologika für die Krebstherapie fokussiert und über Kandidaten im fortgeschrittenen klinischen Stadium verfügt. Der am weitesten entwickelte klinische Kandidat ist BNT316/ONC-392, ein Anti-CTLA-4-Antikörper der nächsten Generation, der eine Wiederherstellung des CTLA-4-Moleküls ermöglicht und so dessen Schutzfunktion gegen Autoimmunerkrankungen aufrechterhalten und gleichzeitig die Anti-Tumor-Wirkung verstärken kann. Darüber hinaus verfügt OncoC4 über eine Pipeline potenziell neuer präklinischer Produktkandidaten, die sich auf den CD24-Siglecs-Signalweg konzentrieren, der eine Rolle bei der Immunevasion von Krebs spielt.

Weitere Informationen: [www.oncoc4.com](http://www.oncoc4.com).

### Zukunftsgerichtete Aussagen von BioNTech

Diese Pressemitteilung enthält bestimmte in die Zukunft gerichtete Aussagen von BioNTech im Rahmen des angepassten Private Securities Litigation Reform Act von 1995, einschließlich, aber nicht begrenzt auf ausdrückliche oder implizite Aussagen bezogen auf: BioNTechs Zusammenarbeit mit OncoC4, Inc.; die Fähigkeit des monoklonalen anti-CTLA-4-Antikörperkandidaten BNT316/ONC-392, immunsuppressive regulatorische T-Zellen zu eliminieren und die Anti-Tumor-Wirkung bei verschiedenen Krebsindikationen zu verstärken; die Entwicklung von BNT316/ONC-392 als Mono- oder Kombinationstherapie in verschiedenen Krebsindikationen; den Zeitplan, Umfang und den Erfolg einer Phase-3-Studie, in der BNT316/ONC-392 als Monotherapie im Vergleich zur derzeitigen Standardtherapie bei PD-1-resistentem, nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom untersucht wird; den Zeitplan und den Erfolg einer Phase-2-Studie mit BNT316/ONC-392 als Kombinationstherapie mit Pembrolizumab bei Platin-resistentem Eierstockkrebs; und den Zeitplan von BioNTechs Strategie, in den Jahren 2023 und 2024 Studien mit Zulassungspotential für mehrere Onkologie-Produktkandidaten zu initiieren. Alle zukunftsgerichteten Aussagen in dieser Pressemitteilung basieren auf den aktuellen Erwartungen und Einschätzungen von BioNTech in Bezug auf zukünftige Ereignisse und unterliegen zahlreichen Risiken und Ungewissheiten, die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse wesentlich und ungünstig von denen abweichen, die in diesen zukunftsgerichteten Aussagen enthalten oder impliziert werden. Zu diesen Risiken und Ungewissheiten gehören unter anderem: die Fähigkeit von BioNTech, diese potenziellen Immuntherapien zu entwickeln und, falls sie zugelassen werden, zu vermarkten.

Für eine Erörterung dieser und anderer Risiken und Unsicherheiten verweist BioNTech auf den am 8. Mai 2023 als 6-K veröffentlichten Geschäftsbericht des am 31. März 2023 endenden Quartals, der auf der Website der U.S. Securities and Exchange Commission („SEC“) unter [www.sec.gov](http://www.sec.gov) zur Verfügung steht. Alle Informationen in dieser Pressemitteilung beziehen sich auf den Zeitpunkt der Veröffentlichung, und BioNTech ist nicht verpflichtet, diese Informationen zu aktualisieren, sofern dies nicht gesetzlich vorgeschrieben ist.

### KONTAKTE

#### BioNTech

Investoranfragen  
Victoria Meissner, M.D.  
+1 617 528 8293  
[Investors@biontech.de](mailto:Investors@biontech.de)

Medienanfragen  
Jasmina Alatovic  
+49 (0)6131 9084 1513

[Media@biontech.de](mailto:Media@biontech.de)

**OncoC4**

Investoranfragen

Martin Devenport

[mdevenport@oncoc4.com](mailto:mdevenport@oncoc4.com)

Medienanfragen

Helen Schiltz

[hschiltz@oncoc4.com](mailto:hschiltz@oncoc4.com)

<sup>1</sup>Front Oncol. 2018 Mar 28; 8:86; published online, doi: 10.3389/fonc.2018.00086.

<sup>2</sup>Front. Immunol., 2021 Aug. 31; Vol. 12 – 2021; <https://doi.org/10.3389/fimmu.2021.651634>

<sup>3</sup>CA Cancer J Clin. 2021 May;71(3):209-249

<sup>4</sup>[https://www.cancer.gov/types/lung/hp/non-small-cell-lung-treatment-pdq#\\_37\\_toc](https://www.cancer.gov/types/lung/hp/non-small-cell-lung-treatment-pdq#_37_toc)

<sup>5</sup><https://www.cancer.org/cancer/types/lung-cancer/treating-non-small-cell/by-stage.html>