

## Presse-Information

**Nicht für UK-Medien bestimmt**

Bayer HealthCare AG  
Communications  
51368 Leverkusen  
Deutschland  
Tel. +49 214 30-1  
[www.bayerhealthcare.com](http://www.bayerhealthcare.com)

---

## **Bayer HealthCare entwickelt mit Dimension Therapeutics Gentherapie für Hämophilie A**

---

**Leverkusen, 23. Juni 2014** – Bayer HealthCare und Dimension Therapeutics wollen gemeinsam eine neuartige Gentherapie zur Behandlung von Hämophilie A entwickeln und vermarkten. Eine entsprechende Vereinbarung wurde heute von den Unternehmen bekanntgegeben. Dimension Therapeutics ist auf die Entwicklung neuartiger Gentherapien für seltene Erkrankungen mit Hilfe von adeno-assoziierten Viren (AAV) spezialisiert.

„Als ein führendes Unternehmen auf dem Gebiet der Hämophilie A-Therapie ist es für uns besonders wichtig, die Entwicklung innovativer Therapieoptionen für Patienten mit Hämophilie A voranzutreiben“, sagte Prof. Dr. Andreas Busch, Mitglied des Executive Committee und Leiter Global Drug Discovery von Bayer HealthCare. „Wir freuen uns auf die Zusammenarbeit mit Dimension Therapeutics, um gemeinsam das Potenzial der Gentherapie für neue langfristige Behandlungsoptionen gegen diese Krankheit zu nutzen.“

„Die derzeit verfügbaren Substitutionstherapien bei Hämophilie A müssen oft mehrmals pro Woche intravenös gegeben werden. Und das je nach Schwere der Erkrankung ein Leben lang“, sagte Thomas R. Beck, M. D., CEO von Dimension Therapeutics. „Die Gentherapie könnte die Behandlung der Hämophilie von Grund auf verändern, indem sie das für die Krankheit verantwortliche defekte Gen durch eine gesunde Version ersetzt. Wir sind stolz darauf, mit Bayer, einem führenden Unternehmen auf dem Gebiet der Hämophilie A-Therapie, an der Entwicklung einer neuen Therapie zu arbeiten, die das Potenzial hat, die Therapielandschaft zu verändern.“

Im Rahmen der Vereinbarung erhält Dimension Therapeutics eine Vorauszahlung von 20 Millionen US-Dollar sowie bis zu 232 Millionen US-Dollar in Abhängigkeit vom

Erreichen bestimmter Meilensteine in der Entwicklung und Vermarktung. Dimension Therapeutics ist für die weitere präklinische Entwicklung sowie klinische Phase I/IIa-Prüfung verantwortlich und erhält dafür finanzielle Unterstützung von Bayer. Im Fall von positiven Phase I/IIa-Daten übernimmt Bayer die Verantwortung für die weitere klinische Phase III-Entwicklung sowie sämtliche Zulassungsanträge bei den regulatorischen Behörden. Bayer erhält die weltweiten Rechte an der Vermarktung des potenziellen zukünftigen Präparats zur Behandlung der Hämophilie A. Dimension Therapeutics hat desweiteren Anspruch auf gestaffelte Lizenzgebühren in Abhängigkeit vom Produktumsatz.

Die AAV-Vektortechnologie von Dimension Therapeutics ermöglicht eine systemisch-intravenöse Verabreichung des Blutgerinnungsfaktor-Gens in vivo. In präklinischen Studien wurde nachgewiesen, dass das Gen auf diese Weise die Leber erreicht und in einer lang anhaltenden Expression des FVIII-Proteins in therapeutischen Mengen resultiert. Die Vektoren von Dimension Therapeutics basieren auf der proprietären NAV®-Technologie von REGENX Biosciences.

### **Über Hämophilie A**

Bei Hämophilie A, auch bekannt als Faktor-VIII-Mangel oder „klassische Bluterkrankheit“, handelt es sich fast immer um eine vererbte Störung der Blutgerinnung. Hämophilie A ist die häufigste Form der Bluterkrankheit, bei der das Blutgerinnungsprotein Faktor VIII fehlt oder fehlerhaft gebildet wird. Hämophilie A ist durch verlängerte oder spontane Blutungen charakterisiert, die insbesondere Muskeln, Gelenke oder innere Organe betreffen.

### **Über Hämatologie bei Bayer**

Mit dem Ziel, das Leben von Menschen zu verbessern, arbeitet Bayer an der Erweiterung seines Portfolios für innovative Behandlungen. Der Hämatologiebereich bei Bayer umfasst eine zugelassene Therapie für Hämophilie A sowie weitere Wirkstoffe zur Behandlung von Hämophilie A, Sichelzellenanämie und anderen Erkrankungen des Blutes, die sich in der präklinischen und klinischen Entwicklung befinden. Alle diese Wirkstoffe zeigen das Engagement von Bayer bei der Erforschung und Entwicklung von Therapieoptionen in diesen Gebieten.

### **Über Dimension Therapeutics**

Dimension Therapeutics ist ein Unternehmen, das sich auf die Entwicklung neuartiger Behandlungsoptionen für seltene Erkrankungen mit Hilfe der Gentherapie fokussiert. Zu

dem seit 2013 bestehenden Team von Dimension Therapeutics gehören erfahrene Mitarbeiter der Biotech-Branche und renommierte Wissenschaftler in den Bereichen Gentherapie und seltene Erkrankungen. Schwerpunkte des Unternehmens sind der Aufbau seiner auf adeno-assoziierten Viren (AAV) basierenden Fertigkeiten sowie mehrere Entwicklungsprogramme zu Gentherapien für seltene Erkrankungen. Derzeit überführt das Unternehmen ein eigenes Programm zur Behandlung von Hämophilie B in die klinische Entwicklung. Durch Partnerschaften mit REGENX Biosciences und der Universität Pennsylvania verfügt Dimension Therapeutics über exklusive IP-Rechte in der Gentherapie und hat Zugriff auf zahlreiche branchenführende AAV-Vektoren, die auf der NAV®-Technologie von REGENX basieren. Dimension Therapeutics wurde von Fidelity Biosciences und OrbiMed Advisors finanziert. Weitere Informationen finden Sie unter [www.dimensiontx.com](http://www.dimensiontx.com).

### **Über Bayer HealthCare**

Die Bayer AG ist ein weltweit tätiges, forschungsbasiertes und wachstumsorientiertes Unternehmen mit Kernkompetenzen auf den Gebieten Gesundheit, Agrarwirtschaft und hochwertige Materialien. Mit einem Umsatz von rund 18,9 Mrd. Euro (2013) gehört Bayer HealthCare, ein Teilkonzern der Bayer AG, zu den weltweit führenden innovativen Unternehmen in der Gesundheitsversorgung mit Arzneimitteln und medizinischen Produkten. Das Unternehmen mit Sitz in Leverkusen bündelt die Aktivitäten der Divisionen Animal Health, Consumer Care, Medical Care sowie Pharmaceuticals. Ziel von Bayer HealthCare ist es, Produkte zu erforschen, zu entwickeln, zu produzieren und zu vertreiben, um die Gesundheit von Mensch und Tier weltweit zu verbessern. Bei Bayer HealthCare arbeiten weltweit 56.000 (Stand: 31.12.2013) Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter in mehr als 100 Ländern. Mehr Informationen unter [www.healthcare.bayer.de](http://www.healthcare.bayer.de)

Das Pressecenter von Bayer HealthCare ist nur einen Klick entfernt:  
[presse.healthcare.bayer.de](http://presse.healthcare.bayer.de)

#### Hinweis für die Redaktionen:

*Bildmaterial zu diesem Thema erhalten Sie unter [www.presse.bayer.de](http://www.presse.bayer.de) zum Downloaden.*

#### Ansprechpartner:

**Diana Scholz, Tel. +49 30 468-193183 oder +49 175 30-93283**

E-Mail: [diana.scholz@bayer.com](mailto:diana.scholz@bayer.com)

Informationen auf Facebook: <http://www.facebook.com/healthcare.bayer>

Informationen auf Twitter: <https://twitter.com/BayerHealthCare>

ds (2014-0267)

**Zukunftsgerichtete Aussagen**

Diese Presseinformation kann bestimmte in die Zukunft gerichtete Aussagen enthalten, die auf den gegenwärtigen Annahmen und Prognosen der Unternehmensleitung des Bayer-Konzerns bzw. seiner Teilkonzerne beruhen. Verschiedene bekannte wie auch unbekannte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren können dazu führen, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Entwicklung oder die Performance der Gesellschaft wesentlich von den hier gegebenen Einschätzungen abweichen. Diese Faktoren schließen diejenigen ein, die Bayer in veröffentlichten Berichten beschrieben hat. Diese Berichte stehen auf der Bayer-Webseite [www.bayer.de](http://www.bayer.de) zur Verfügung. Die Gesellschaft übernimmt keinerlei Verpflichtung, solche zukunftsgerichteten Aussagen fortzuschreiben und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklungen anzupassen.