



## Neue Daten zur 36-monatigen Verlängerung der Apitegromab-Studie bekräftigen die langfristige substanzielle und nachhaltige Verbesserung der motorischen Funktion bei Patienten mit nicht gehfähigen spinalen Muskelatrophien in der Phase-2-Studie TOPAZ

30. Juni 2023

- Verbesserungen bei den von den Patienten berichteten Ergebnissen, die mit den Verbesserungen bei den motorischen Funktionen übereinstimmen
- Das Sicherheitsprofil nach 36 Monaten entspricht früheren Berichten ohne neue Sicherheitsbefunde; mehr als 90 Prozent der nicht gehfähigen Patienten blieben in der Studie
- Aufnahme in die zulassungsrelevante Phase-3-Studie SAPPHIRE schreitet voran, voraussichtlicher Abschluss in Q3 2023
- Scholar Rock veranstaltet am 12. Juli um 9:00 AM EST eine virtuelle Investorenveranstaltung, um die aktuelle SMA-Behandlungslandschaft und das Potenzial von Apitegromab zur Verbesserung des Behandlungsstandards zu diskutieren

CAMBRIDGE, Massachusetts –(BUSINESS WIRE)--Jun. 30, 2023- Scholar Rock (NASDAQ: SRRK), ein biopharmazeutisches Unternehmen im klinischen Stadium, das sich auf die Behandlung schwerer Krankheiten konzentriert, bei denen Proteinwachstumsfaktoren eine grundlegende Rolle spielen, gab heute neue Daten aus der Verlängerungsphase der Phase-2-Studie TOPAZ bekannt, in der die Ergebnisse der Patienten nach 36 Monaten Behandlung mit Apitegromab ausgewertet wurden. Diese Daten zeigen, dass eine fortgesetzte Behandlung mit Apitegromab über den verlängerten Behandlungszeitraum mit einer erheblichen und anhaltenden Verbesserung der motorischen Funktion sowie mit Verbesserungen der von den Patienten berichteten Ergebnisse bei Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA) des Typs 2 und 3, die nicht gehfähig sind und eine auf die überlebenden Motoneuronen (SMN) gerichtete Therapie erhalten, verbunden war. Die detaillierten Ergebnisse wurden heute von Dr. Thomas Crawford von Johns Hopkins Medicine, dem leitenden Prüfarzt der TOPAZ-Studie, in zwei Podiumsvorträgen auf dem Cure SMA Research & Clinical Care Meeting in Orlando, Florida, vorgestellt.

"Diese vielversprechenden Langzeitdaten unterstreichen das therapeutische Potenzial von auf die Muskeln ausgerichteten Therapien wie Apitegromab, um Menschen mit SMA bei anhaltender Schwäche zu helfen", sagte Dr. Crawford. "Während SMN-gerichtete Therapien eine wichtige Rolle bei der Verhinderung eines weiteren Verlusts von Motoneuronen spielen, leiden viele Menschen immer noch unter anhaltenden oder fortschreitenden Symptomen aufgrund einer bereits bestehenden Degeneration der Motoneuronen. Die Aufnahme einer auf die Muskeln ausgerichteten Therapie mit dem klinischen Profil von Apitegromab in das Behandlungsparadigma könnte es den Patienten ermöglichen, ihre motorischen Funktionen aufrechtzuerhalten oder möglicherweise neue Fortschritte zu erzielen."

"Wir freuen uns, diese neuen Phase-2-Daten zu veröffentlichen, die die langfristige Dauerhaftigkeit der Wirkung von Apitegromab und sein konsistentes Verträglichkeits- und Sicherheitsprofil bestätigen. Die Ergebnisse stärken unser Vertrauen in das therapeutische Potenzial von Apitegromab für Patienten mit SMA und bestätigen den einzigartigen Ansatz von Scholar Rock, die pro- und latente Form von Myostatin selektiv zu hemmen", sagte Jay Backstrom, M.D., MPH, President und Chief Executive Officer von Scholar Rock. "Zusätzlich zu den anhaltenden Vorteilen, die wir bei gleichbleibenden HFMSE-Werten beobachtet haben, konnten wir eine kontinuierliche Verbesserung der RULM-Werte und eine Verringerung der von den Patienten angegebenen Müdigkeit feststellen - alles Faktoren, die für die Durchführung von Aktivitäten des täglichen Lebens wichtig sein können. Wir setzen uns weiterhin dafür ein, den Behandlungsstandard für Menschen mit SMA zu verbessern, und wir freuen uns darauf, Updates zu unserer zulassungsrelevanten Phase-3-Studie SAPPHIRE zu geben, die voraussichtlich im dritten Quartal 2023 abgeschlossen sein wird."

**Erhebliche und anhaltende Verbesserungen der motorischen Funktion während des erweiterten Behandlungszeitraums beobachtet:** Nicht gehfähige Patienten (im Alter von 2 bis 21 Jahren) erzielten während des 36-monatigen erweiterten Behandlungszeitraums erhebliche und anhaltende Fortschritte bei den Ergebnissen der Hammersmith Functional Motor Scale-Expanded (HFMSE) und des Revised Upper Limb Module (RULM):

	12-Monats-Daten	24-Monats-Daten	36-Monats-Daten
<b>Mittlere Veränderung des HFMSE-Wertes gegenüber dem Ausgangswert (95% Konfidenzintervall)</b>	<b>3,6 Punkte</b>	<b>4,2 Punkte</b>	<b>4,0 Punkte</b>
	(1.2, 6.0) N=32	(1.9, 6.6) N=29	(1.0, 6.9) N=28
<b>Mittlere Veränderung von Baseline in RULM (95% Konfidenzintervall)</b>	<b>1,3 Punkte</b>	<b>2,3 Punkte</b>	<b>2,4 Punkte</b>
	(0.2, 2.3) N=31	(1.2, 3.3) N=31	(1.1, 3.7) N=27

Für die 36-Monats-Daten wurde eine Analyse der beobachteten Fälle durchgeführt, bei der die Daten aller nicht gehfähigen Patienten (einschließlich der Patienten, die während der gesamten Studiendauer 20 mg/kg Apitegromab erhielten, und der Patienten, die im zweiten Jahr zu verschiedenen Zeitpunkten von 2 mg/kg auf 20 mg/kg umgestellt wurden) auf der Grundlage der verfügbaren Daten zusammengefasst wurden. Bei diesen Analysen wurden die Daten von Patienten nach einer Skolioseoperation nicht berücksichtigt.

**Verbesserung der von den Patienten berichteten Ergebnisse im Einklang mit Verbesserungen der motorischen Funktion:** Nicht gehfähige Patienten (im Alter von 2 bis 21 Jahren) zeigten Verbesserungen im PEDI-CAT (Maß für Aktivitäten des täglichen Lebens) und PROMIS-Fatigue (ein von Patienten berichtetes Ergebnisinstrument zur Messung von Müdigkeit), die nach 36 Monaten konsistent und anhaltend waren. Die mittlere Veränderung im Bereich der täglichen Aktivitäten des PEDI-CAT gegenüber dem Ausgangswert betrug nach 36 Monaten 2,2 (95% CI: -0,1, 4,5; N=17), was auf eine Verbesserung der Fähigkeit zur Durchführung täglicher Aktivitäten hinweist. Die mittlere Veränderung der PROMIS-Müdigkeit gegenüber dem Ausgangswert betrug nach 36 Monaten -4,6 (95% CI: -8,7, -0,5; N=14), was auf einen Rückgang der Müdigkeit hinweist. Diese Verbesserungen im PEDI-CAT und in der PROMIS-Müdigkeit waren im Allgemeinen mit den Verbesserungen der motorischen Funktion über die 36 Monate des Studienzeitraums hinweg vereinbar.

**Konsistente Sicherheitsdaten:** Behandlungsbedingte unerwünschte Ereignisse (TEAEs) nach 36 Monaten entsprachen den früheren Berichten nach 12 und 24 Monaten, wobei nach einer Gesamtzahl von 198 Patientenjahren keine neuen Erkenntnisse vorlagen. Die TEAE waren meist leicht bis mittelschwer und standen im Allgemeinen im Einklang mit der zugrunde liegenden Patientenpopulation und der Hintergrundtherapie. Die fünf häufigsten TEAEs waren Kopfschmerzen, Pyrexie, COVID-19, Nasopharyngitis und Infektionen der oberen Atemwege. Es wurden keine Todesfälle oder mutmaßliche unerwartete schwerwiegende Nebenwirkungen oder Überempfindlichkeitsreaktionen bei

Apitegromab nach 36 Monaten. Während des 36-monatigen Behandlungszeitraums wurden insgesamt 21 schwerwiegende TEAEs gemeldet. Kein Patient wies positive Titer für Apitegromab-Antikörper (ADA) auf.

Mehr als 90 Prozent der nicht gehfähigen Patienten blieben in der Erweiterungsstudie in der Behandlung. Einzelheiten zu den Podiumsvorträgen auf dem SMA Research & Clinical Care Meeting sind im Folgenden aufgeführt:

**Titel:** Wirkung von Apitegromab auf den PEDI-CAT und den PROMIS-Fatigue-Fragebogen nach 36 Monaten bei Patienten mit spinaler Muskelatrophie Typ 2 und Typ 3 ohne Gehfähigkeit  
**Art der Präsentation:** Mündliche Präsentation  
**Referent:** Thomas O. Crawford, M.D., Professor für Neurologie und Pädiatrie, Johns Hopkins University  
**Datum und Uhrzeit:** Freitag, 30. Juni 2023, 10:40 AM EST  
**Standort:** Disney Swan und Dolphin Hotels, Orlando, FL

**Titel:** Wirkung von Apitegromab auf die motorische Funktion nach 36 Monaten bei Patienten mit spinaler Muskelatrophie vom Typ 2 und nicht gehfähigen Patienten vom Typ 3  
**Vortragsart:** Mündliche Präsentation  
**Referent:** Thomas O. Crawford, M.D., Professor für Neurologie und Pädiatrie, Johns Hopkins University  
**Datum und Uhrzeit:** Freitag, Juni 30, 2023, 11:00 AM EST  
**Standort:** Disney Swan und Dolphin Hotels, Orlando, Florida  
Informationen zur Konferenz finden Sie unter <https://www.researchandclinicalcaremeeting.com/>.

Die Präsentationen werden im Anschluss an die Präsentation auf der Website von Scholar Rock im [Bereich "Publications & Posters" zur Verfügung](#) gestellt. Telefonkonferenz/Webcast:

Scholar Rock wird am 12. Juli um 9:00 Uhr EST eine virtuelle Investorenveranstaltung veranstalten, um die aktuelle SMA-Behandlungslandschaft und das Potenzial von Apitegromab zu erörtern, den Behandlungsstandard für Patienten mit nicht gehfähigen SMA-Typen 2 und 3 zu verbessern. Klicken Sie auf [J D2](#), um sich zu registrieren und den Webcast anzuhören. Ein Link zum Webcast dieser Veranstaltung ist auch im Bereich "Investoren & Medien" der Scholar Rock Website unter <http://investors.scholarrock.com> verfügbar.

Eine archivierte Aufzeichnung des Webcasts wird auf der Website von Scholar Rock unter <https://scholarrock.com/> für etwa 90 Tage nach der Präsentation verfügbar sein.

#### Über die Phase-2-Studie TOPAZ

Bei der TOPAZ-Studie handelt es sich um eine laufende offene Phase-2-Studie zum Nachweis des Konzepts, in der die Sicherheit und Wirksamkeit von Apitegromab bei Patienten mit SMA Typ 2 und 3 untersucht wird. In der Hauptbehandlungsphase wurde Apitegromab den Patienten alle vier Wochen intravenös als Monotherapie oder zusammen mit Nusinersen, einem zugelassenen Medikament, verabreicht. SMN-gerichtete Therapie. An der Studie nahmen 58 Patienten in den USA und Europa teil. Die primären Wirksamkeitsendpunkte waren die mittlere Veränderung des RHS-Scores (Revised Hammersmith Scale) nach 12 Monaten bei der ambulanten Population (Kohorte 1) und die mittlere Veränderung des HFMSE-Scores nach 12 Monaten bei der nicht ambulanten Population (Kohorten 2 und 3) gegenüber dem Ausgangswert. Die Studie umfasst auch mehrere 12-monatige Verlängerungszeiträume, um die längerfristigen Ergebnisse der Patienten zu bewerten.

#### Über die Phase-3-Studie SAPPHIRE

SAPPHIRE ist eine laufende randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte klinische Studie der Phase 3 zur Bewertung der Sicherheit und Wirksamkeit von Apitegromab bei nicht gehfähigen Patienten mit SMA Typ 2 und 3, die eine SMN-Therapie (entweder Nusinersen oder Risdiplam) erhalten. Es wird erwartet, dass etwa 156 Patienten im Alter von 2-12 Jahren in die Hauptpopulation der Wirksamkeitsstudie aufgenommen werden. Diese Patienten werden im Verhältnis 1:1:1 randomisiert und erhalten 12 Monate lang entweder Apitegromab 10 mg/kg, Apitegromab 20 mg/kg oder Placebo als intravenöse (IV) Infusion alle 4 Wochen. Eine Sondierungspopulation von etwa 48 Patienten im Alter von 13 bis 21 Jahren wird ebenfalls separat untersucht. Diese Patienten werden im Verhältnis 2:1 randomisiert und erhalten entweder Apitegromab 20 mg/kg oder Placebo. Weitere Informationen über SAPPHIRE finden Sie unter [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov).

#### Über Apitegromab

Apitegromab ist ein monoklonaler Antikörper, der die Aktivierung von Myostatin hemmt, indem er selektiv die pro- und latenten Formen von Myostatin im Skelettmuskel bindet. Er ist der erste auf Muskeln abzielende Behandlungskandidat, der den klinischen Wirksamkeitsnachweis bei spinaler Muskelatrophie (SMA) erbracht hat. Myostatin, ein Mitglied der TGF $\beta$ -Superfamilie von Wachstumsfaktoren, wird vor allem von Skelettmuskelzellen exprimiert, und das Fehlen seines Gens wird bei mehreren Tierarten, einschließlich des Menschen, mit einer Zunahme der Muskelmasse und -kraft in Verbindung gebracht. Scholar Rock ist davon überzeugt, dass unsere hochselektive Ausrichtung auf pro- und latente Formen von Myostatin mit Apitegromab zu einer klinisch bedeutsamen Verbesserung der motorischen Funktion bei Patienten mit SMA führen kann. Die U.S. Food and Drug Administration (FDA) hat Apitegromab für die Behandlung von SMA den Status eines Fast-Track-Medikaments, eines Orphan Drugs und einer seltenen pädiatrischen Erkrankung zuerkannt, und die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) hat Apitegromab den Status eines Priority Medicines (PRIME) und eines Orphan Medicinal Product zuerkannt. Die Wirksamkeit und Sicherheit von Apitegromab wurde nicht nachgewiesen, und Apitegromab wurde weder von der FDA noch von einer anderen Zulassungsbehörde für irgendeine Verwendung zugelassen.

#### Über SMA

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine seltene, genetisch bedingte neuromuskuläre Erkrankung, von der schätzungsweise 30 000 bis 35 000 Menschen in den Vereinigten Staaten und Europa betroffen sind. Die Krankheit ist gekennzeichnet durch den Verlust von Motoneuronen, Atrophie der willkürlichen Muskeln der Gliedmaßen und des Rumpfes und fortschreitende Muskelschwäche. Obwohl die Entwicklung von Therapeutika gegen den Verlust von Motoneuronen Fortschritte gemacht hat, besteht weiterhin ein hoher ungedeckter Bedarf an Therapien, die direkt auf die fortschreitende Muskelschwäche abzielen, die zum Verlust der motorischen Funktion bei SMA führt.

#### Über Scholar Rock

Scholar Rock ist ein biopharmazeutisches Unternehmen in der klinischen Phase, das sich auf die Entdeckung und Entwicklung innovativer Arzneimittel zur Behandlung schwerer Krankheiten konzentriert, bei denen die Signalübertragung durch Proteinwachstumsfaktoren eine grundlegende Rolle spielt. Scholar Rock baut eine Pipeline neuartiger Produktkandidaten auf, die das Potenzial haben, das Leben von Patienten zu verbessern, die an einer Vielzahl von schweren Krankheiten leiden, darunter neuromuskuläre Störungen, Krebs und Fibrose. Scholar Rocks Ansatz, die molekularen

Mechanismen der Wachstumsfaktoraktivierung anzugehen, ermöglichte es dem Unternehmen, eine proprietäre Plattform für die Entdeckung und Entwicklung monoklonaler Antikörper zu entwickeln, die lokal und selektiv auf diese Signalproteine auf zellulärer Ebene abzielen. Durch die Entwicklung von

Mit der Entwicklung von Produktkandidaten, die in der Mikroumgebung der Krankheit wirken, will das Unternehmen die historischen Herausforderungen vermeiden, die mit der Hemmung von Wachstumsfaktoren für eine therapeutische Wirkung verbunden sind. Scholar Rock ist der Ansicht, dass die Konzentration auf biologisch validierte Wachstumsfaktoren einen effizienteren Entwicklungspfad ermöglichen kann. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.ScholarRock.com](http://www.ScholarRock.com) oder folgen Sie Scholar Rock auf Twitter (@ScholarRock) und LinkedIn (<https://www.linkedin.com/Unternehmen/scholar-rock/>).

#### **Verfügbarkeit von weiteren Informationen über Scholar Rock**

Anleger und andere Personen sollten beachten, dass wir mit unseren Anlegern und der Öffentlichkeit über unsere Unternehmenswebsite [www.scholarrock.com](http://www.scholarrock.com) kommunizieren, einschließlich, aber nicht beschränkt auf Unternehmensangaben, Präsentationen für Anleger und häufig gestellte Fragen (FAQs), Einreichungen bei der US-Börsenaufsichtsbehörde (Securities and Exchange Commission), Pressemitteilungen, Mitschriften von öffentlichen Telefonkonferenzen und Webcasts sowie über Twitter und LinkedIn. Die Informationen, die wir auf unserer Website oder auf Twitter oder LinkedIn veröffentlichen, könnten als wesentliche Informationen angesehen werden. Aus diesem Grund empfehlen wir Investoren, Medien und anderen Interessierten, die Informationen, die wir dort veröffentlichen, regelmäßig zu überprüfen. Der Inhalt unserer Website oder sozialer Medien gilt nicht als durch Verweis in eine Einreichung gemäß dem Securities Act von 1933 in seiner aktuellen Fassung aufgenommen.

Scholar Rock% ist eine eingetragene Marke von Scholar Rock, Inc.

#### **Zukunftsgerichtete Aussagen**

Diese Pressemitteilung enthält "zukunftsgerichtete Aussagen" im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995, einschließlich, aber nicht beschränkt auf, Aussagen über die zukünftigen Erwartungen, Pläne und Aussichten von Scholar Rock, einschließlich, aber nicht beschränkt auf, die Erwartungen von Scholar Rock in Bezug auf sein Wachstum, seine Strategie, den Fortschritt und den Zeitplan seiner klinischen Studien für Apitegromab und andere Produktkandidaten sowie die Auswahl der Indikationen und den Zeitplan für die Entwicklung, die Fähigkeit eines Produktkandidaten, am Menschen in einer Weise zu wirken, die mit früheren nicht-klinischen, präklinischen oder klinischen Studiendaten übereinstimmt, und das Potenzial seiner Produktkandidaten und seiner proprietären Plattform. Die Verwendung von Worten wie "kann", "könnte", "könnte", "wird", "sollte", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "erwarten", "planen", "antizipieren", "glauben", "schätzen", "projizieren", "beabsichtigen", "zukünftig", "potentiell" oder "fortsetzen" und andere ähnliche Ausdrücke sind dazu gedacht, die solche zukunftsgerichteten Aussagen. Alle derartigen zukunftsgerichteten Aussagen beruhen auf den aktuellen Erwartungen der Geschäftsleitung in Bezug auf zukünftige Ereignisse und unterliegen einer Reihe von Risiken und Ungewissheiten, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse erheblich und nachteilig von denen abweichen, die in diesen zukunftsgerichteten Aussagen dargelegt oder impliziert sind. Zu diesen Risiken und Unwägbarkeiten gehört unter anderem, dass präklinische und klinische Daten, einschließlich der Ergebnisse der klinischen Phase-2-Studie mit Apitegromab, nicht vorhersehbar sind und im Widerspruch zu den Daten künftiger klinischer Studien mit denselben Produktkandidaten stehen oder günstiger ausfallen können als diese, einschließlich der klinischen Phase-3-Studie mit Apitegromab bei SMA, die Fähigkeit von Scholar Rock, die finanzielle Unterstützung, die Ressourcen und das Fachwissen bereitzustellen, die für die Identifizierung und Entwicklung von Produktkandidaten in der erwarteten Zeitspanne erforderlich sind, die Daten, die aus den nichtklinischen und präklinischen Studien und klinischen Studien von Scholar Rock gewonnen werden, die von den Zulassungsbehörden zur Verfügung gestellten Informationen oder getroffenen Entscheidungen, die Konkurrenz durch Dritte, die Produkte für ähnliche Anwendungen entwickeln, die Fähigkeit von Scholar Rock, sein geistiges Eigentum zu erhalten, Scholar Rocks Fähigkeit, sein geistiges Eigentum zu erhalten, aufrechtzuerhalten und zu schützen, Scholar Rocks Abhängigkeit von Dritten bei der Entwicklung und Herstellung von Produktkandidaten, einschließlich, aber nicht beschränkt auf die Bereitstellung von klinischen Studien, Scholar Rocks Fähigkeit, Ausgaben zu verwalten und zusätzliche Finanzmittel zu erhalten, wenn dies zur Unterstützung seiner Geschäftsaktivitäten und zum Aufbau und zur Aufrechterhaltung strategischer Geschäftsallianzen und neuer Geschäftsinitiativen erforderlich ist, und die Auswirkungen von Pandemien auf den Geschäftsbetrieb und die Erwartungen des Unternehmens sowie die Risiken, die im Abschnitt "Risikofaktoren" im Quartalsbericht von Scholar Rock auf Formular 10-Q für das am 31. März 2023 abgeschlossene Quartal ausführlicher beschrieben werden, sowie die Erörterung potenzieller Risiken, Ungewissheiten und anderer wichtiger Faktoren in den späteren Einreichungen von Scholar Rock bei der Securities and Exchange Commission. Alle zukunftsgerichteten Aussagen repräsentieren lediglich die Ansichten von Scholar Rock zum heutigen Zeitpunkt und sollten nicht als repräsentativ für die Ansichten des Unternehmens zu einem späteren Zeitpunkt angesehen werden. Alle Informationen in dieser Pressemitteilung entsprechen dem Stand zum Zeitpunkt der Veröffentlichung, und Scholar Rock ist nicht verpflichtet, diese Informationen zu aktualisieren, sofern dies nicht gesetzlich vorgeschrieben ist.

Quelltext auf [businesswire.com](http://businesswire.com) anzeigen: <https://www.businesswire.com/news/home/20230629579391/en/>

#### **Scholar Rock:**

Investoren  
Rushmie Nofsinger  
Scholar Rock  
[rnofsinger@scholarrock.com](mailto:rnofsinger@scholarrock.com)  
[ir@scholarrock.com](mailto:ir@scholarrock.com)  
857-259-5573

#### **Medien**

Teagan White  
Finn Partner  
[teagan.white@finnpartners.com](mailto:teagan.white@finnpartners.com)  
[media@scholarrock.com](mailto:media@scholarrock.com)  
650-766-3955

Quelle: Scholar Rock, Inc.