

## **Lexeo Therapeutics gibt Veröffentlichung von Phase-I/II-Daten zu LX2006 bei Friedreich-Ataxie in JAMA Cardiology bekannt**

17. Juni 2026

Die in JAMA Cardiology veröffentlichten Ergebnisse zeigen, dass LX2006 im Allgemeinen gut vertragen wurde und in Phase-I/II-Studien erste Hinweise auf Wirksamkeit zeigte.

Die zulassungsrelevante Studie SUNRISE-FA 2 zu LX2006 soll planmäßig im zweiten Quartal 2026 beginnen; Topline-Daten werden in der zweiten Jahreshälfte 2027 erwartet.

NEW YORK, 17. Juni 2026 (GLOBE NEWSWIRE) -- Lexeo Therapeutics, Inc. (Nasdaq: LXEO), ein biopharmazeutisches Unternehmen im klinischen Stadium, das sich der Entwicklung neuartiger genetischer Arzneimittel für Herz-Kreislauf-Erkrankungen widmet, gab heute bekannt, dass zentrale Ergebnisse aus Phase-I/II-Studien zur LX2006-Gentherapie bei Friedreich-Ataxie (FA) im Journal of the American Medical Association (JAMA) Cardiology veröffentlicht wurden.

### **Veröffentlichung in JAMA Cardiology**

Die Bewertung der Sicherheit und explorativer Wirksamkeitsparameter von LX2006 kombiniert Daten aus zwei unabhängigen Studien: neun Teilnehmende aus einer Studie der Weill Cornell Medicine, die vom National Heart, Lung, and Blood Institute finanziert wurde, sowie acht Teilnehmende, die in der von Lexeo Therapeutics durchgeführten SUNRISE-FA-Studie behandelt wurden. Die beiden Studien schlossen Patientinnen und Patienten mit früher Herzerkrankung sowie Patientinnen und Patienten mit etablierter struktureller Herzerkrankung ein. In beiden Studien erhielten die Patientinnen und Patienten eine einstündige intravenöse Infusion der LX2006-Gentherapie und wurden über 6 bis 36 Monate untersucht. Drei unterschiedliche Dosierungen wurden in drei Kohorten von Patientinnen und Patienten getestet.

„Diese positiven Phase-I/II-Daten zeigen klinisch bedeutsame Verbesserungen sowohl bei kardialen als auch bei neurologischen Messgrößen der Friedreich-Ataxie. Die Veröffentlichung in JAMA Cardiology unterstreicht zusätzlich die Bedeutung dieser Ergebnisse und das Potenzial dieser Therapie für Menschen, die mit dieser verheerenden Erkrankung leben“, sagte Narinder Bhalla, M.D., Chief Medical Officer von Lexeo Therapeutics.

„Wir sind Weill Cornell Medicine und den Studienprüfärztinnen und -prüfärzten dankbar, dass sie dazu beigetragen haben, dieses Programm in die nächste Phase der klinischen Entwicklung zu bringen,

und freuen uns darauf, die zulassungsrelevante SUNRISE-FA-2-Studie in diesem Monat zu starten.“

„Die Veröffentlichung dieser Ergebnisse in JAMA Cardiology stellt einen bedeutenden Meilenstein für unser Forschungsprogramm dar. Die Kardiomyopathie bei Friedreich-Ataxie bleibt eine fortschreitende und lebensbedrohliche Erkrankung ohne zugelassene herzspezifische Behandlungen. Diese Ergebnisse stärken das Potenzial der Gentherapie, die zugrunde liegende Krankheitsursache anzugehen“, sagte Dr. Ronald G. Crystal, Hauptautor, Professor und Vorsitzender des Department of Genetic Medicine an der Weill Cornell Medicine sowie Pneumologe am New-York-Presbyterian/Weill Cornell Medical Center. „Ich freue mich darauf, auf diesen Ergebnissen aufzubauen, während das Programm in Richtung einer zulassungsrelevanten Studie und letztlich einer zugelassenen Therapie für Patientinnen und Patienten voranschreitet.“

### Wesentliche Ergebnisse aus den Phase-I/II-Studien zu LX2006

Die bisherigen klinischen Daten zu LX2006 zeigen anhaltende oder zunehmende Verbesserungen bei kardialen und neurologischen Endpunkten der FA sowie eine Verbesserung der Frataxin-Biomarker-Expression.

- Die Mehrheit der Teilnehmenden zeigte im Zeitverlauf eine Verbesserung oder Stabilisierung des LVMI. Bei Teilnehmenden mit auffälligem Ausgangs-LVMI in den mittleren und hohen Dosis-Kohorten (n=3) zeigte sich nach 6 Monaten eine mittlere Verbesserung des LVMI um 28 % und nach 12 Monaten um 33 %. Einige Patientinnen und Patienten hielten die LVMI-Verbesserung bis zu drei Jahre nach der Behandlung aufrecht, was auf eine anhaltende Krankheitsmodifikation anhand eines klinisch bedeutsamen Endpunkts hinweist.
- Bei den meisten Patientinnen und Patienten wurde unabhängig vom Ausgangs-LVMI eine Verbesserung oder Stabilisierung sekundärer kardialer Biomarker beobachtet, darunter hochsensitives Troponin I und laterale Wanddicke. Dies unterstützt das Potenzial von LX2006 über verschiedene Stadien der FA-Kardiomyopathie hinweg.
- Daten aus kardialen Biopsien der SUNRISE-FA-Studie (n=8) zeigten, dass alle Studienteilnehmenden nach 3 Monaten im Vergleich zum Ausgangswert Anstiege der Frataxin-Proteinexpression erreichten. Dies stellt den ersten Nachweis einer bedeutsamen Expression in krankheitsrelevantem Herzgewebe dar.
- LX2006 war außerdem mit einer Stabilisierung der modifizierten Friedreich Ataxia Rating Scale (mFARS) im Zeitverlauf verbunden, was Hinweise auf eine Verbesserung der neurologischen Funktion nahelegt.
- Die Behandlung mit LX2006 wurde bei 17 behandelten Teilnehmenden insgesamt gut vertragen. Bisher wurden keine schwerwiegenden unerwünschten Ereignisse (SAEs) vom Grad 3 oder höher berichtet, keine klinisch bedeutsame Komplementaktivierung beobachtet und nur minimale, vorübergehende Erhöhungen der Leberfunktionstests (LFT) festgestellt. Eine Patientin bzw. ein Patient entwickelte ein möglicherweise behandlungsbedingtes Ereignis vom Grad 2 in Form einer asymptomatischen Myokarditis, das ein Jahr nach der Verabreichung beobachtet wurde.

LX2006 wird weiterhin in der zulassungsrelevanten SUNRISE-FA-2-Studie untersucht, deren Beginn planmäßig bis Ende Juni vorgesehen ist. Materialien zum kürzlich bekannt gegebenen Design der zulassungsrelevanten Studie für LX2006 sind im Investorenbereich der Lexeo-Website verfügbar.

Dr. Ronald G. Crystal ist Gründer, wissenschaftlicher Chefberater, Berater, Anteilseigner und Board Observer von Lexeo Therapeutics und ist Erfinder geistigen Eigentums, das der Weill Cornell Medicine zugeordnet ist. Weill Cornell Medicine Enterprise Innovation, dessen Ziel es ist, die Umsetzung wissenschaftlicher Entdeckungen in einen Nutzen für Patientinnen und Patienten zu beschleunigen, spielte eine entscheidende Rolle bei der Gründung von Lexeo im Jahr 2020 und lizenzierte später zusätzliche Technologie an das Unternehmen, um die klinische Studie weiter zu unterstützen.

### Über Lexeo Therapeutics

Lexeo Therapeutics ist ein in New York City ansässiges Unternehmen für genetische Medizin im klinischen Stadium, das sich der Neugestaltung der Herzgesundheit widmet, indem es wegweisende Wissenschaft einsetzt, um grundlegend zu verändern, wie Herz-Kreislauf-Erkrankungen behandelt werden. Das Unternehmen entwickelt ein Portfolio therapeutischer Kandidaten, die auf die zugrunde liegenden genetischen Ursachen von Erkrankungen abzielen, darunter LX2006 bei Friedreich-Ataxie (FA), LX2020 bei plakophilin-2- (PKP2)-assoziiertes arrhythmogener Kardiomyopathie sowie weitere Programme für schwerwiegende Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf.

### Warnhinweis zu zukunftsgerichteten Aussagen

Bestimmte Aussagen in dieser Pressemitteilung können „zukunftsgerichtete Aussagen“ im Sinne der US-amerikanischen Wertpapiergesetze darstellen, einschließlich, aber nicht beschränkt auf Lexeos Erwartungen und Pläne in Bezug auf seine aktuellen Produktkandidaten und Programme, die erwarteten Vorteile seiner aktuellen Produktkandidaten sowie den Zeitpunkt und die Wahrscheinlichkeit möglicher regulatorischer Entwicklungen und Zulassungen. Wörter wie „kann“, „könnte“, „wird“, „Ziel“, „beabsichtigen“, „sollte“, „könnte“, „kann“, „würde“, „erwarten“, „glauben“, „Design“, „schätzen“, „vorhersagen“, „potenziell“, „entwickeln“, „planen“ oder die Verneinung dieser Begriffe sowie ähnliche Ausdrücke oder Aussagen über Absichten, Überzeugungen oder aktuelle Erwartungen sind zukunftsgerichtete Aussagen. Obwohl Lexeo diese zukunftsgerichteten Aussagen für angemessen hält, sollte kein unangemessenes Vertrauen in solche zukunftsgerichteten Aussagen gesetzt werden. Diese

zukunftsgerichteten Aussagen beruhen auf derzeit verfügbaren Informationen des Unternehmens sowie auf bestimmten Schätzungen und Annahmen und unterliegen verschiedenen Risiken und Unsicherheiten, einschließlich, aber nicht beschränkt auf jene, die in Lexeos Einreichungen bei der U.S. Securities and Exchange Commission (SEC) dargelegt sind. Viele dieser Faktoren liegen außerhalb der Kontrolle des Unternehmens und können sich ändern. Die tatsächlichen Ergebnisse könnten aufgrund vieler Faktoren wesentlich von den in solchen zukunftsgerichteten Aussagen angegebenen Ergebnissen abweichen. Dazu gehören unter anderem: der Ausgang laufender Gespräche mit der FDA über das Design unserer zulassungsrelevanten Studie und der Studie zur vollständigen Zulassung; Erwartungen hinsichtlich des Beginns, des Fortschritts und der erwarteten Ergebnisse von Lexeos präklinischen Studien, klinischen Studien sowie Forschungs- und Entwicklungsprogrammen; die unvorhersehbare Beziehung zwischen präklinischen Studienergebnissen und klinischen Studienergebnissen; Verzögerungen bei der Einreichung regulatorischer Unterlagen oder das Ausbleiben regulatorischer Zulassungen; Liquidität und Kapitalressourcen; sowie weitere Risiken und Unsicherheiten, die in Lexeos Quartalsbericht auf Formblatt 10-Q für das am 31. März 2026 endende Quartal, eingereicht bei der SEC am 11. Mai 2026, sowie in künftigen Einreichungen von Lexeo bei der SEC beschrieben sind. Neue Risiken und Unsicherheiten können von Zeit zu Zeit auftreten, und es ist nicht möglich, alle Risiken und Unsicherheiten vorherzusagen. Lexeo beansprucht den Schutz des Safe Harbor für zukunftsgerichtete Aussagen gemäß dem Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Lexeo lehnt ausdrücklich jede Verpflichtung ab, Aussagen aufgrund neuer Informationen, zukünftiger Ereignisse oder aus anderen Gründen zu aktualisieren oder zu ändern, sofern dies nicht gesetzlich vorgeschrieben ist.

**Medienanfragen:**

media@lexeotx.com

**Investorenanfragen:**

Ashley Kaplowitz

akaplowitz@lexeotx.com