



## Lexeo Therapeutics gibt aktuelle Informationen zur Zulassungslage und zum Studiendesign für die Gentherapie LX2006 bei Friedreich-Ataxie bekannt

15. Juni 2026

*Zu den Parametern der SUNRISE-FA-2-Studie gehören der primäre Endpunkt LVMI, eine Topline-Wirksamkeitsanalyse nach 6 Monaten, Einschlusskriterien mit Fokus auf einem abnormalen LVMI-Ausgangswert sowie ein offenes Studiendesign*

*Die den BLA-Antrag unterstützende Herstellungsstrategie umfasst eine flexible Prozessvalidierung, einschließlich reduzierter PPQ-Produktionschargen. Der Start der SUNRISE-FA-2-Studie verläuft planmäßig für das 2. Quartal 2026, wobei die Aufnahme des ersten Patienten bis Ende Juni erwartet wird*

*Das Unternehmen veranstaltet heute um 8:00 Uhr ET einen Webcast*

NEW YORK, 15. Juni 2026 (GLOBE NEWSWIRE) – [Lexeo Therapeutics, Inc. \(Nasdaq: LXEO\)](#), ein Unternehmen im Bereich der genetischen Medizin im klinischen Stadium, das sich der Entwicklung neuartiger Therapien für Herz-Kreislauf-Erkrankungen verschrieben hat, gab heute bekannt, dass das Unternehmen das Protokoll und den statistischen Analyseplan (SAP) für die zulassungsrelevante Studie SUNRISE-FA 2 fertiggestellt hat. Diese sollen klinische Nachweise liefern, um den Antrag auf eine Biologics License Application (BLA) bei der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) für den Gentherapie-Kandidaten LX2006 im Rahmen des beschleunigten Zulassungsverfahrens im Jahr 2028 zu liefern.

„Mit der Fertigstellung des Designs der zulassungsrelevanten SUNRISE-FA-2-Studie haben wir einen wichtigen Meilenstein erreicht und einen klaren und stringenten Weg zur Bewertung von LX2006 bei der Friedreich-Ataxie (FA)-Kardiomyopathie festgelegt“, sagte Dr. Narinder Bhalla, Chief Medical Officer von Lexeo Therapeutics. „Patienten mit FA, insbesondere solche mit kardialer Beteiligung, haben einen erheblichen ungedeckten Bedarf an neuen Behandlungsmöglichkeiten und stehen weiterhin im Mittelpunkt unserer Bemühungen. Dieser Fortschritt bringt uns der Bereitstellung einer potenziellen neuen Therapie einen Schritt näher, und wir konzentrieren uns weiterhin auf die Umsetzung, während wir daran arbeiten, die zulassungsrelevante Studie zu starten und bis Ende des Monats den ersten Patienten aufzunehmen.“

„FARA gratuliert dem Team von Lexeo Therapeutics zu diesem wichtigen Meilenstein und ist zutiefst dankbar für dessen Engagement bei der Weiterentwicklung des ersten Gentherapieprogramms für die Friedreich-Ataxie“, sagte Jennifer Farmer, Geschäftsführerin der Friedreich's Ataxia Research Alliance (FARA). „Wir danken auch den Teilnehmern und Forschern der SUNRISE-FA-Phase-I/II-Studie, deren Mut den Weg für diese zulassungsrelevante Studie geebnet hat. Wir würdigen Lexeo dafür, dass das Unternehmen SUNRISE-FA 2 mit wissenschaftlicher Sorgfalt konzipiert hat, dabei erkannt hat, dass ein Schein- oder Placebo-Design im Kontext der Gentherapie weder notwendig noch angemessen ist, und dieser Studie einen pädiatrischen Arm hinzugefügt hat – ganz im Sinne der Patienten, während wir mit Hochdruck auf die erste zugelassene Behandlung für die FA-Kardiomyopathie hinarbeiten.“

Protokoll und SAP der zulassungsrelevanten Studie SUNRISE-FA 2

SUNRISE-FA 2 ist eine offene zulassungsrelevante Studie, in der 13 Teilnehmer im Alter von 16 Jahren und älter eine einmalige intravenöse Gabe von hochdosiertem LX2006 ( $1,2 \times 10^{12}$  Vektorgenome pro Kilogramm) erhalten, verglichen mit 13 Teilnehmern, die nicht mit LX2006 behandelt werden (unbehandelte Kontrollgruppe). Die Studie sieht für die Teilnehmer der unbehandelten Kontrollgruppe weder ein Placebo noch ein Scheinverfahren vor.

Der parallel laufende unbehandelte Kontrollarm spiegelt wesentliche Elemente einer externen Natural-History-Kontrolle wider und wird gleichzeitig prospektiv im Rahmen desselben Protokolls durchgeführt. Dieses Studiendesign berücksichtigt Rückmeldungen der FDA, die darauf abzielen, potenzielle Verzerrungsquellen zu reduzieren, und gewährleistet die Konsistenz der Studienauswertungen und Bewertungsmethoden in beiden Armen, ohne dabei wesentliche Studienparameter wie Umfang und Dauer zu beeinträchtigen.

Zu den wesentlichen Designelementen gehören:

- **Primärer Endpunkt:** Linksventrikulärer Massenindex (LVMI), ermittelt mittels kardialer Magnetresonanztomographie (MRT), mit einer ersten Wirksamkeitsauswertung 6 Monate nach der Behandlung.
  - Die SAP ist so ausgelegt, dass sie eine Effektgröße des LVMI von 15 % oder mehr nachweisen kann.
  - Aufgrund der bislang in Phase-I/II-Studien beobachteten klinisch bedeutsamen Ergebnisse hat die FDA empfohlen, den ko-primären Endpunkt der kardialen Frataxin-Proteinexpression zu streichen, da es nicht mehr erforderlich ist, den Wirkmechanismus von LX2006 nachzuweisen.
- **Wichtige sekundäre Endpunkte:** Messungen neurologischer und kardialer Endpunkte sowie relevanter Biomarker, darunter die modifizierte Friedreich-Ataxie-Bewertungsskala (mFARS), der Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ), hochsensitives (hs) Troponin-I und die Dicke der Seitenwand.
- **Patientenpopulation:** In die Studie werden Teilnehmer mit einem abnormalen LVMI zu Studienbeginn aufgenommen, definiert als mindestens zwei Standardabweichungen über dem Normalwert.
- **Statistischer Analyseplan:** Die Teilnehmer werden randomisiert entweder der LX2006-Gruppe oder der unbehandelten Kontrollgruppe zugewiesen. Dieser Randomisierungsansatz soll eine Verzerrung bei der Patientenauswahl zwischen der unbehandelten und der behandelten Gruppe ausschließen und ausgewogene Ausgangsmerkmale, einschließlich des LVMI, gewährleisten.
- **Crossover-Berechtigung:** Teilnehmer in der unbehandelten Kontrollgruppe sind berechtigt, nach 6 Monaten in die LX2006-Gruppe zu wechseln, und werden in die 6-Monats-Wirksamkeitsanalyse sowie in alle Langzeit-Nachuntersuchungen einbezogen.
- **Pädiatrische Kohorten:** Pädiatrische Kohorten werden nach der Verabreichung bei Teilnehmern ab 16 Jahren auf ihre Sicherheit hin untersucht.

Die FDA hat bestätigt, dass keine zusätzlichen nichtklinischen Brückstudien erforderlich sind und Lexeo seinen optimierten, ertragreichen Sf9-Baculovirus-Endherstellungsprozess nutzen darf, um mit der Verabreichung in der zulassungsrelevanten SUNRISE-FA-2-Studie zu beginnen. Das klinische Arzneimittel wurde im kommerziellen Maßstab hergestellt und steht sofort für die Verabreichung an Patienten zur Verfügung.

**CLARITY-FA-Studie zum natürlichen Krankheitsverlauf**

CLARITY-FA ist eine Natural-History-Studie, die unterstützende Erkenntnisse zum unbehandelten Krankheitsverlauf sowohl für die beschleunigte als auch für die vollständige Zulassung liefern wird. Die Rekrutierung läuft derzeit und schreitet gut voran. CLARITY-FA hat identische Einschlusskriterien wie die zulassungsrelevante SUNRISE-FA-2-Studie, und die rekrutierten Patienten sind zur Teilnahme an SUNRISE-FA-2 berechtigt; die Aufnahme des ersten Patienten wird voraussichtlich bis Ende Juni erfolgen.

#### Nächste Schritte

- Lexeo befindet sich weiterhin in Gesprächen mit der FDA bezüglich der Strategie zur Erbringung der bestätigenden Nachweise, einschließlich der möglichen Verwendung bestimmter sekundärer Endpunkte zum 12-Monats-Zeitpunkt in SUNRISE-FA 2 zur Unterstützung der vollständigen Zulassung, und wird eine Aktualisierung bereitstellen, sobald diese endgültig festgelegt ist.
- Aufgrund des Studienumfangs und der Dauer von SUNRISE-FA 2 sowie der erwarteten Anforderungen an die PPQ und die Prozessvalidierung rechnet Lexeo mit der Veröffentlichung der Topline-Daten in der zweiten Hälfte des Jahres 2027 und der Einreichung eines BLA-Antrags im Rahmen des beschleunigten Zulassungsverfahrens in der ersten Hälfte des Jahres 2028.

#### Details zum Unternehmens-Webcast

Lexeo Therapeutics veranstaltet heute, am 15. Juni 2026, um 8:00 Uhr ET einen Webcast. Analysten und Investoren können live über die Seite [„News & Events“](#) im Bereich „Investoren“ auf der Website von Lexeo unter [www.lexeotx.com](http://www.lexeotx.com) am Webcast teilnehmen. Der Webcast wird im Anschluss an die Veranstaltung auf der Website des Unternehmens archiviert.

#### 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 verschrieben hat, indem es bahnbrechende wissenschaftliche Erkenntnisse nutzt, um die Behandlung von Herz-Kreislauf-Erkrankungen grundlegend zu verändern. Das Unternehmen treibt ein Portfolio von Therapiekandidaten voran, die auf die zugrunde liegenden genetischen Ursachen von Erkrankungen abzielen, darunter LX2006 bei der Friedreich-Ataxie (FA), LX2020 bei der plakophilin-2 (PKP2)-arrhythmogenen Kardiomyopathie sowie weitere Wirkstoffe für schwerwiegende Erkrankungen mit hohem ungedecktem Bedarf.

#### Warnhinweis zu zukunftsgerichteten Aussagen

Bestimmte Aussagen in dieser Pressemitteilung können „zukunftsgerichtete Aussagen“ im Sinne der US-amerikanischen Wertpapiergesetze darstellen, darunter unter anderem die Erwartungen und Pläne von Lexeo hinsichtlich seiner aktuellen Produktkandidaten und Programme, die erwarteten Vorteile seiner aktuellen Produktkandidaten sowie der Zeitplan und die Wahrscheinlichkeit potenzieller regulatorischer Entwicklungen und Zulassungen. Begriffe wie „könnte“, „möglicherweise“, „Bill“, „Ziel“, „beabsichtigen“, „sollten“, „könnten“, „können“, „würden“, „erwarten“, „glauben“, „beabsichtigen“, „schätzen“, „vorhersagen“, „potenziell“, „entwickeln“, „planen“ oder die Verneinung dieser Begriffe,

sowie ähnliche Ausdrücke oder Aussagen über Absichten, Überzeugungen oder aktuelle Erwartungen stellen zukunftsgerichtete Aussagen dar. Lexeo hält diese zukunftsgerichteten Aussagen zwar für angemessen, es sollte jedoch kein unangemessenes Vertrauen in solche zukunftsgerichteten Aussagen gesetzt werden. Diese zukunftsgerichteten Aussagen basieren auf den dem Unternehmen derzeit vorliegenden Informationen sowie auf bestimmten Schätzungen und Annahmen und unterliegen verschiedenen Risiken und Ungewissheiten (einschließlich, aber nicht beschränkt auf diejenigen, die in den bei der US-Börsenaufsichtsbehörde (SEC) eingereichten Unterlagen von Lexeo dargelegt sind), von denen viele außerhalb der Kontrolle des Unternehmens liegen und Änderungen unterliegen. Die tatsächlichen Ergebnisse könnten aufgrund zahlreicher Faktoren erheblich von den in solchen zukunftsgerichteten Aussagen angedeuteten Ergebnissen abweichen, darunter unter anderem: das Ergebnis der laufenden Gespräche mit der FDA bezüglich der Ausgestaltung unserer zulassungsrelevanten Studie und der Studie zur vollständigen Zulassung; Erwartungen hinsichtlich des Beginns, des Fortschritts und der erwarteten Ergebnisse der präklinischen Studien, klinischen Studien sowie Forschungs- und Entwicklungsprogramme von Lexeo; die unvorhersehbare Korrelation zwischen den Ergebnissen präklinischer Studien und den Ergebnissen klinischer Studien; Verzögerungen bei der Einreichung von Zulassungsanträgen oder das Ausbleiben der behördlichen Zulassung; Liquidität und Kapitalressourcen; sowie weitere Risiken und Ungewissheiten, die im Quartalsbericht von Lexeo auf Formular 10-Q für das am 31. März 2026 endende Quartal, der am 11. Mai 2026 bei der SEC eingereicht wurde, sowie in späteren Unterlagen, die Lexeo möglicherweise bei der SEC einreichen wird, aufgeführt sind. Von Zeit zu Zeit können neue Risiken und Ungewissheiten auftreten, und es ist nicht möglich, alle Risiken und Ungewissheiten vorherzusagen. Lexeo beruft sich hinsichtlich zukunftsgerichteter Aussagen auf den Schutz der „Safe-Harbor“-Bestimmungen des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Lexeo lehnt ausdrücklich jede Verpflichtung ab, Aussagen zu aktualisieren oder zu ändern, sei es aufgrund neuer Informationen, zukünftiger Ereignisse oder aus anderen Gründen, es sei denn, dies ist gesetzlich vorgeschrieben.

Reaktion der Medien:

[Medier@lexeotx.com](mailto:Medier@lexeotx.com)

Reaktion der Investoren:

Ashley Kaplowitz

[alia@pbwvitz\\_@lexeotx.com](mailto:alia@pbwvitz_@lexeotx.com)