

NOMLABOFUSP: WICHTIGE FORTSCHRITTE BEI DER FRIEDREICH-ATAXIE



29. Juni 2026

Larimar Therapeutics gibt positive Langzeitdaten bekannt und leitet den Antrag auf beschleunigte Zulassung bei der FDA ein.

WAS IST NOMLABOFUSP?



Nomlabofusp ist ein in der Forschung befindliches Medikament, das entwickelt wurde, um Frataxin (FXN) in das Zellinnere zu transportieren.

Die Friedreich-Ataxie wird durch einen Mangel an Frataxin, einem essenziellen Protein, verursacht.

DAS WICHTIGSTE



Die FDA akzeptiert den Antrag zu prüfen



Anhaltender Anstieg des Frataxin-Spiegels



Alle erreichten schützende Werte

100 % der Patienten, die die 1-Jahres-Behandlung abgeschlossen haben, erreichten Werte von ≥ 50 % der Werte eines gesunden Menschen.



Klinische Verbesserung im Vergleich zum erwarteten Krankheitsverlauf

Die Patienten zeigten eine Besserung oder blieben stabil, während der natürliche Verlauf der Erkrankung eine Verschlechterung aufweist.



Bekanntes Sicherheitsprofil

Die Behandlung wurde im Allgemeinen gut vertragen. Es gab 10 Fälle von Anaphylaxie, die meisten davon bei Patienten mit vorheriger Exposition.

NÄCHSTE MEILENSTEINE



Start der globalen Phase-3-Studie
Drittes Quartal 2026



Einreichung der verbleibenden Module des Zulassungsantrags (BLA)
Zweite Hälfte des Jahres 2026



Mögliche Markteinführung

Mitte 2027, sofern zugelassen

WICHTIGSTE ERGEBNISSE DER LANGZEITSTUDIE

Frataxin in der Haut (pg/ μ g)*

Absoluter Mittelwert (Bereich)



8,2 pg/ μ g = 50 % des Durchschnittswerts eines gesunden Menschen

* Die Daten umfassen Dosierungen von 25 mg, 50 mg oder eine Dosiserhöhung auf 50 mg.

Patienten mit Frataxin ≥ 50 % des Spiegels eines gesunden Menschen ($>8,2$ pg/ μ g)*

% der Teilnehmer



* Gleiche Kriterien wie in der vorherigen Grafik.

Klinische Ergebnisse nach 1 Jahr

Unterschied gegenüber dem erwarteten Verlauf (FACOMS-Naturstudien)

mFARS	Verbesserung um 2,6 Punkte
FARS-ADL	Verbesserung um 2,6 Punkte
9-HPT (dominante Hand) Sekunden	Verbesserung um 21,7 Sekunden
MFIS	Verbesserung um 23,2 Punkte

1 von 6 Patienten im Rollstuhl zu Beginn konnten nach 1 Jahr wieder gehen

KLINISCHE VERBESSERUNG MIT NOMLABOFUSP IM VERGLEICH ZUM NATÜRLICHEN VERLAUF DER ERKRANKUNG

- Tendenz zur Verbesserung bei mFARS, FARS-ADL und 9-HPT nach 1 Jahr Behandlung (n = 13) im Vergleich zur FACOMS-Studie (Verschlechterung).
- Nach 1 Jahr: durchschnittliche Verbesserung um 1,0 Punkt in mFARS unter Nomlabofusp gegenüber einer durchschnittlichen Verschlechterung um 1,6 Punkte in der FACOMS-Studie (Differenz von 2,6 Punkten).
- Nach 18 Monaten: durchschnittliche Verbesserung um 2,3 Punkte in mFARS gegenüber einer durchschnittlichen Verschlechterung um 2,3 Punkte in der FACOMS-Studie (Differenz von 4,6 Punkten).
- Keiner der 7 gefähigen Patienten entwickelte nach einem Jahr eine Gehunfähigkeit, und 1 der 6 Patienten, die zu Beginn gehunfähig waren, konnte wieder gehen.
- Diese Verbesserungen standen im Zusammenhang mit einem Anstieg des Frataxin-Spiegels in der Haut.
- Die Daten untermauern das Potenzial von Nomlabofusp, Patienten über das gesamte Spektrum der FA hinweg zu helfen, einschließlich fortgeschrittener Erkrankungen.

	1 Jahr			18 Monate		
	n=13	n=189-211	Diferencia	FACOMS ^{1,2}	Diferencia	
[0-93]	-1,0 (-6,5, 3,0)	1,6 (-15,7, 18,0)	-2,6	-2,3 (-10,0, 4,5)	2,3 ²	-4,6
FARS-ADL ³ (0-36)	-1,1 (-9,0, 2,5)	1,5 (-5,5, 9,0)	-2,6	-0,3 (-1,5, 1,0)	k. A.	k. A.
9-NRT ¹ (Sekunden)	-15,6 (-46,7, 15,4)	6,1 (-40,1, 203,7)	-21,7 Sekunden	-11,8 (-13,6, 6,5)	k. A.	k. A.
(0-84) ²	-5,2 (-25,0, 10,0)	0,6 (-16,0, 15,0)	-23,2 mejora	0,6 (-16,0, 15,0)	k. A.	k. A.

¹ Basierend auf Patienten der FACOMS-Studie mit ähnlichen Ausgangsmerkmalen wie die Teilnehmer der offenen Studie (OL).

² Wert nach 18 Monaten, interpoliert aus den jährlichen Daten bis zu 3 Jahren.

³ mFARS: modifizierte Skala zur Bewertung der Friedreich-Ataxie; FARS-ADL: Aktivitäten des täglichen Lebens;

9-HPT: 9-Loch-Test mit der dominanten Hand; MFIS: modifizierte Skala zur Bewertung der Auswirkungen von Müdigkeit.

Daten zum Stichtag März 2026.

Daten zum Stichtag März 2026.

SICHERHEITSPROFIL



- >10.000 verabreichte Dosen in der offenen Studie.
- Die langfristige tägliche Behandlung wurde im Allgemeinen gut vertragen.
- Die häufigsten unerwünschten Ereignisse waren leichte bis mittelschwere Reaktionen an der Injektionsstelle, die mit der Zeit abklangen.
- 21 Teilnehmer brachen die Studie ab (8 aufgrund anderer unerwünschter Ereignisse).
- 10 von 41 Teilnehmern (24 %) erlebten eine Anaphylaxie.
 - 9 waren zuvor bereits mit Nomlabofusp behandelt worden.
 - 1 hatte zuvor noch keinen Kontakt damit gehabt.
- Alle erholten sich nach einer Standardbehandlung vollständig und ohne Folgeschäden.
- Bei 3 Teilnehmern trat eine generalisierte Urtikaria auf (keine neuen Fälle seit Beginn der Antihistaminika-Gabe).
- 11 Teilnehmer ohne vorherige Exposition; 1 erlitt eine Anaphylaxie.

ABSTIMMUNG MIT DER FDA – MULTIDISZIPLINÄRES TYPE-B-PRE-BLA-TREFFEN

- Ausreichendes Datenpaket:** Die FDA bestätigte, dass die aktuellen Daten die Einreichung und Prüfung eines BLA-Antrags für eine beschleunigte Zulassung stützen können.
- FXN als Surrogatparameter:** Die FDA bekräftigte ihre Bereitschaft, Frataxin (FXN) als neuen Surrogatparameter zu berücksichtigen, und dass die Expositions-Wirkungs-Analyse von Larimar die Einreichung des BLA-Antrags unterstützen kann.
- Daten zur Genexpression und zu Lipiden:** Diese prospektiven explorativen Biomarker können die Biomarker-Daten untermauern und den Ersatzendpunkt sowie den Wirkmechanismus von Nomlabofusp zusätzlich stützen.
- Modulare Einreichung des BLA (Rolling):** Die FDA stimmte diesem Ansatz zu, und das erste Modul wurde bereits eingereicht.



Diese Daten untermauern das Potenzial von Nomlabofusp als erste krankheitsmodifizierende Therapie für die Friedreich-Ataxie.

Hoffnung, Belege und echte Fortschritte für Tausende von Menschen und Familien.

