



Mustang Bio und Minaris Regenerative Medicine unterzeichnen Technologietransfer- und GMP-Herstellungsvereinbarung für MB-107 Lentivirale Gentherapie für X-chromosomale schwere kombinierte Immundefizienz

WORCESTER, Mass. und MÜNCHEN, Deutschland. 23. November 2020 - Mustang Bio, Inc. ("Mustang") (NASDAQ: MBIO), ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Umsetzung aktueller medizinischer Durchbrüche bei Zell- und Gentherapien in potenzielle Heilmittel für hämatologische Krebserkrankungen, solide Tumore und seltene genetische Krankheiten konzentriert, und Minaris Regenerative Medicine GmbH ("Minaris"), ein führender Dienstleister für Auftragsentwicklung und -herstellung für die Zell- und Gentherapiebranche, gaben heute bekannt, dass sie eine Vereinbarung unterzeichnet haben, die den Technologietransfer und die GMP-konforme klinische Herstellung des lentiviralen Gentherapieprogramms MB-107 von Mustang zur Behandlung der X-chromosomalen schweren kombinierten Immundefizienz ("XSCID"), auch bekannt als Bubble Boy Disease, in Europa ermöglichen.

Im Rahmen der Vereinbarung wird Minaris an seinem Standort in Ottobrunn, Deutschland, den Technologietransfer der Herstellungs- und Analyseverfahren sowie deren Anpassung an das europäische regulatorische Umfeld für die GMP-konforme Herstellung des Arzneimittels durchführen, mit dem Ziel, klinische Studien in Europa zu versorgen.

„Wir freuen uns auf eine produktive und erfolgreiche Partnerschaft mit Mustang, in der wir unsere umfangreiche Erfahrung in der klinischen und kommerziellen Herstellung von autologen Gentherapien einbringen werden“, sagte Dusan Kosijer, Geschäftsführer von Minaris. „Wir sind sehr bestrebt, mit Mustang im Kampf gegen diese verheerende Krankheit zusammenzuarbeiten.“

„Diese Vereinbarung mit Minaris ist ein wichtiger Schritt, um die Ausweitung unserer MB-107-Zulassungsstudie auf Europa zu unterstützen“, sagte Dr. Manuel Litchman, Präsident und Geschäftsführer von Mustang. „Wir freuen uns darauf, mit Minaris zusammenzuarbeiten, um unsere geographische Präsenz zu erweitern und diese potentiell lebensrettende Therapie für XSCID-Patienten in Not auf internationaler Ebene anzubieten.“

MB-107 wird derzeit in einer klinischen Phase-1/2-Studie für XSCID bei neu diagnostizierten Kindern unter zwei Jahren im St. Jude Children's Research Hospital, im UCSF Benioff Children's Hospital in San Francisco und im Seattle Children's Hospital untersucht. Mustang reichte bei der FDA einen Antrag auf ein neues Prüfpräparat ("IND") ein, um eine zulassungsrelevante multizentrische klinische Phase-2-Studie mit MB-107 in der gleichen Patientenpopulation zu initiieren. In die Studie sollen 10 Patienten aufgenommen werden, die zusammen mit 15 Patienten, die an der aktuellen multizentrischen Studie unter der Leitung von St. Jude teilnehmen, mit 25 übereinstimmenden historischen Kontrollpatienten verglichen werden sollen, die sich einer hämatopoetischen Stammzelltransplantation unterzogen haben. Der primäre Wirksamkeitsendpunkt wird das ereignisfreie Überleben sein. Der Beginn dieser Studie wird in Kürze erwartet. Mustang erwartet Daten dieser Studie in der zweiten Hälfte des Jahres 2022.

Die FDA hat MB-107 für die Behandlung von XSCID bei neu diagnostizierten Säuglingen die Designationen „Rare Pediatric Disease“, „Orphan Drug“ und „Regenerative Medicine Advanced Therapy“ erteilt.

Über X-chromosomale schwere kombinierte Immundefizienz ("XSCID")

Die X-chromosomale schwere kombinierte Immunschwäche ist eine seltene genetische Erkrankung, die bei etwa 1 von 225.000 Geburten auftritt. Sie ist gekennzeichnet durch das Fehlen oder die fehlende Funktion wichtiger Immunzellen, was zu einer schweren Beeinträchtigung des Immunsystems und unbehandelt zum Tod im Alter von einem Jahr führt. Patienten mit XSCID haben keine T-Zellen oder natürlichen Killerzellen. Obwohl ihre B-Zellen zahlenmäßig normal sind, sind sie nicht funktionsfähig. Infolgedessen sind XSCID-Patienten in der Regel früh im Leben von schweren bakteriellen, viralen oder Pilzinfektionen betroffen und leiden häufig an interstitiellen Lungenerkrankungen, chronischem Durchfall und Gedeihstörungen.

Die spezifische genetische Störung, die XSCID verursacht, ist eine Mutation in dem Gen, das für die gemeinsame Gammakette ("γc") kodiert, ein Protein, das von den Rezeptoren für mindestens sechs Interleukine gemeinsam genutzt wird. Diese Interleukine und ihre Rezeptoren sind entscheidend für die Entwicklung und Differenzierung von Immunzellen. Das Gen, das für γc kodiert, ist als IL-2-Rezeptor-Gamma oder IL2RG bekannt. Da IL2RG auf dem X-Chromosom lokalisiert ist, wird



XSCID in einem X-chromosomal-rezessiven Muster vererbt, was dazu führt, dass fast alle Patienten männlich sind.

Über Mustang Bio

Mustang Bio, Inc. ist ein biopharmazeutisches Unternehmen in der klinischen Phase, das sich darauf konzentriert, die aktuellen medizinischen Durchbrüche bei Zell- und Gentherapien in potenzielle Heilmittel für hämatologische Krebsarten, solide Tumore und seltene genetische Krankheiten zu übersetzen. Mustang strebt den Erwerb von Rechten an diesen Technologien durch Lizenzvergabe oder anderweitigen Erwerb einer Eigentumsbeteiligung, die Finanzierung von Forschung und Entwicklung sowie die Auslizenzierung oder Markteinführung der Technologien an. Mustang ist Partnerschaften mit führenden medizinischen Institutionen eingegangen, um die Entwicklung von Therapien für chimäre Antigenrezeptor-T-Zellen (CAR-T) bei verschiedenen Krebsarten sowie einer lentiviralen Gentherapie für XSCID voranzutreiben. Mustang ist unter dem Securities Exchange Act von 1934 in seiner geänderten Fassung registriert und reicht periodische Berichte bei der U.S. Securities and Exchange Commission ("SEC") ein. Mustang wurde von Fortress Biotech, Inc. gegründet (NASDAQ: FBIO). Weitere Informationen finden Sie unter www.mustangbio.com.

Über Minaris Regenerative Medicine

Minaris Regenerative Medicine ist eine globale Organisation für Auftragsentwicklung und -herstellung (CDMO) für Zell- und Gentherapien. Wir bieten unseren Kunden hochwertige klinische und kommerzielle Herstellungsdienstleistungen, Entwicklungslösungen und Technologien. Wir sind Pioniere auf diesem Gebiet mit mehr als 20 Jahren Erfahrung und bieten herausragende Qualität und Zuverlässigkeit. Unsere Produktionsanlagen in den USA, Europa und Asien ermöglichen es uns, Patienten weltweit mit lebensverändernden Therapien zu versorgen. Minaris Regenerative Medicine befindet sich vollständig im Besitz von Showa Denko Materials Co. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.rm.minaris.com.

Vorausschauende Aussagen

Diese Pressemitteilung kann "zukunftsgerichtete Aussagen" im Sinne von Abschnitt 27A des Securities Act von 1933 und Abschnitt 21E des Securities Exchange Act von 1934, jeweils in der geänderten Fassung, enthalten. Solche Aussagen beinhalten,



sind aber nicht beschränkt auf, alle Aussagen bezüglich unserer Wachstumsstrategie und Produktentwicklungsprogramme sowie alle anderen Aussagen, die keine historischen Tatsachen sind. Zukunftsgerichtete Aussagen basieren auf den aktuellen Erwartungen des Managements und unterliegen Risiken und Ungewissheiten, die sich negativ auf unser Geschäft, die Betriebsergebnisse, die Finanzlage und den Aktienwert auswirken können. Zu den Faktoren, die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse wesentlich von den derzeit erwarteten abweichen, gehören Risiken in Bezug auf unsere Wachstumsstrategie; unsere Fähigkeit, Finanzierungen und strategische Vereinbarungen und Beziehungen zu erhalten, zu erfüllen und aufrechtzuerhalten; Risiken in Bezug auf die Ergebnisse von Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten; Risiken in Bezug auf den Zeitpunkt des Beginns und Abschlusses klinischer Studien; Ungewissheiten in Bezug auf präklinische und klinische Tests; unsere Abhängigkeit von Drittlieferanten; unsere Fähigkeit, Schlüsselpersonal zu gewinnen, zu integrieren und zu behalten; das frühe Stadium von Produkten, die sich in der Entwicklung befinden; unser Bedarf an beträchtlichen zusätzlichen Mitteln; staatliche Regulierung; Patent- und geistige Eigentumsangelegenheiten; Wettbewerb; sowie andere Risiken, die in unseren bei der SEC eingereichten Unterlagen beschrieben sind. Wir lehnen ausdrücklich jede Verpflichtung oder Zusage ab, Aktualisierungen oder Berichtigungen der hierin enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen zu veröffentlichen, um Änderungen unserer Erwartungen oder Änderungen der Ereignisse, Bedingungen oder Umstände, auf denen eine solche Aussage beruht, widerzuspiegeln, es sei denn, dies ist gesetzlich vorgeschrieben, und wir beanspruchen den Schutz des sicheren Hafens für zukunftsgerichtete Aussagen gemäß dem Private Securities Litigation Reform Act von 1995.

Minaris Regenerative Medicine Kontakt:

Luc St-Onge, Ph.D.
Global Head of Sales and Marketing
Minaris Regenerative Medicine GmbH

E-Mail: press@rm.minaris.de

Tel.: +49 (0)89 700 9608-0

Mustang Bio Kontakte:



Jaclyn Jaffe and William Begien
Mustang Bio, Inc.
(781) 652-4500
ir@mustangbio.com

Investor Relations Contact:
Daniel Ferry
LifeSci Advisors, LLC
(617) 430-7576
daniel@lifesciadvisors.com

Media Relations Contact:
Tony Plohoros
6 Degrees
(908) 591-2839
tplohoros@6degreespr.com