

## **Biomay gibt erfolgreiche Unterstützung der Zulassung der ersten CRISPR/Cas9-basierten Therapie bekannt**

Wien, 25. Jänner 2024

**Biomay, ein Biotech-Auftragsentwicklungs- und Produktionsunternehmen mit Sitz in Wien, gibt den erfolgreichen Abschluss einer FDA-Inspektion bekannt, die Biomay als cGMP-Hersteller und -Lieferant für rekombinante Nuklease Cas9 für den Einsatz in Gene-Editing-Therapien qualifiziert.**

Im Rahmen einer seit 2017 laufenden Kooperation mit Vertex und CRISPR Therapeutics hat Biomay im Zuge der klinischen Entwicklung von Exagamglogene Autotemcel (CASGEVY®), einer Therapie zur Behandlung von Sichelzellerkrankheit (SCD) und transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie (TDT), Cas9 hergestellt und geliefert. CASGEVY® ist die erste CRISPR/Cas9-basierte Therapie, die von der FDA und der MHRA eine Marktzulassung und von der EMA ein positives CHMP-Gutachten erhalten hat.

Biomay hat dafür ein Cas9-Herstellungsverfahren entwickelt und validiert. Dieses beinhaltet die Konstruktion eines E. coli-Expressionssystems, GMP-Zellbanken, Upstream- und Downstream-Entwicklung sowie die Etablierung von analytischen Methoden zur Qualitätskontrolle. Es wurde ein umfassendes Programm der Produkt- und Prozesscharakterisierung, zur Validierung von Analysemethoden und des gesamten Herstellungsprozesses durchgeführt. Kürzlich hat die US-amerikanische Gesundheitsbehörde FDA eine Pre-License-Inspektion der Anlagen und Systeme von Biomay im Zusammenhang mit den Biologics License Applications (BLAs) von Vertex für Exagamglogene Autotemcel (CASGEVY®) durchgeführt.

Der Vorstandsvorsitzende von Biomay, Hans Huber, PhD, erklärte: "Wir freuen uns, dass Biomay die Inspektion durch die FDA erfolgreich abgeschlossen hat. Diese Inspektion stellt einen wichtigen Meilenstein für Biomay dar. Sie unterstreicht unser unermüdliches Engagement für Qualität, kontinuierliche Verbesserung und höchste Standards in all unseren Betrieben.

Angela Neubauer, SVP Client Business bei Biomay, fügte hinzu: "Wir freuen uns sehr über die Nachricht, dass die erste CRISPR/Cas9-basierte Gene Editing-Therapie auf den Markt kommt. Wir sind stolz darauf, unsere Kunden bei der Erreichung dieses Ziels erfolgreich unterstützt zu haben, welches zahlreichen Patienten zugutekommt."

### **Über Biomay**

Biomay AG ist ein privates und voll integriertes Unternehmen für Auftragsentwicklung und -herstellung (CDMO) mit Sitz in Wien, Österreich. Gegründet 1984, war die Expression von rekombinanten Proteinen unter Verwendung von E. coli von Anfang an Biomays Geschäftsschwerpunkt. Heute bietet Biomay cGMP-Dienstleistungen für die Herstellung von therapeutischen Proteinen, Plasmid-DNA (pDNA) und Boten-RNA (mRNA) an. Das Leistungsspektrum des Unternehmens umfasst die Prozess- und Analyseentwicklung, das Zellbanking, die cGMP-Herstellung von Wirkstoffen und die aseptische Abfüllung von Arzneimitteln.

**Kontakt:** Dr. Angela Neubauer, SVP Client Business

E-Mail: [media@biomay.com](mailto:media@biomay.com) / [info@biomay.com](mailto:info@biomay.com) Biomay AG, Ada Lovelace-Str. 2, A-1220 Vienna, Austria  
[www.biomay.com](http://www.biomay.com)