

BioNTech und OncoC4 erhalten Orphan-Drug-Status der FDA für Gotistobart bei Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge

Januar 12, 2026

- *Gotistobart ist ein innovativer, chemotherapiefreier Behandlungsansatz für Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge (squamous non-small cell lung cancer, „sqNSCLC“), der darauf abzielt, tumorinfiltrierende regulatorische T-Zellen innerhalb der Tumormikroumgebung selektiv zu eliminieren*
- *Fortgeschrittenes Plattenepithelkarzinom der Lunge ist nach wie vor eine aggressive und schwer zu behandelnde Form von Lungenkrebs mit begrenzten Behandlungsmöglichkeiten für Patientinnen und Patienten und einer medianen Überlebenszeit von weniger als einem Jahr*
- *Die globale zulassungsrelevante klinische Phase-3-Studie zur Bewertung von Gotistobart läuft derzeit bei Patientinnen und Patienten mit metastasiertem Plattenepithelkarzinom der Lunge, deren Erkrankung unter einer vorherigen Immuntherapie in Kombination mit Chemotherapie fortgeschritten war*

MAINZ, Deutschland und ROCKVILLE, USA, 12. Januar 2026 -- [BioNTech SE](#) (Nasdaq: BNTX, „BioNTech“) und [OncoC4, Inc.](#) („OncoC4“) gaben heute bekannt, dass die U.S.-amerikanische Arzneimittelbehörde (U.S. Food and Drug Administration, „FDA“) Gotistobart (auch bekannt als BNT316 oder ONC-392) den Orphan-Drug-Status für die Behandlung des Plattenepithelkarzinoms der Lunge erteilt hat. Diese Krebsart ist ein aggressiver Lungenkrebsstyp, für den es im fortgeschrittenen Stadium nur begrenzte Behandlungsoptionen gibt. Die FDA erteilt den Orphan-Drug-Status für potenzielle neue Arzneimittel zur Prävention, Diagnose oder Behandlung von Patientinnen und Patienten mit einer seltenen Krankheit oder zur Behandlung von einer bestimmten Patientengruppe mit einer nicht seltenen Krankheit. Die Erteilung des Status unterstreicht den dringenden medizinischen Bedarf an neuen Therapieoptionen für Patientinnen und Patienten, die mit dieser Erkrankung leben.

Gotistobart ist ein innovativer Kandidat für die selektive Eliminierung von regulatorischen T-Zellen („Treg“) in der Mikroumgebung des Tumors, der auf CTLA-4 abzielt. Mit seinem einzigartigen Wirkmechanismus hat Gotistobart das Potenzial, den hohen ungedeckten medizinischen Bedarf bei Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge zu decken, das etwa 25 % aller Lungenkrebsfälle¹ ausmacht und eine hohe krankheitsbedingte Mortalität² aufweist. Mit einer 5-Jahres-Überlebensrate von 15 % und einer medianen Überlebenszeit von 11 Monaten in den Vereinigten Staaten (2000–2017)³ ist das Plattenepithelkarzinom der Lunge eine schwere Erkrankung mit begrenzten Behandlungsmöglichkeiten im fortgeschrittenen Stadium. Die Behandlungsmöglichkeiten von fortgeschrittenem/metastasiertem Plattenepithelkarzinom der Lunge sind für die Zweitlinientherapie nach einer Erstlinien-Immuntherapie und -Chemotherapie oft auf Chemotherapie oder palliative Therapie beschränkt.⁴

Die zulassungsrelevante klinische Phase-3-Studie PRESERVE-003 ([NCT05671510](#); [EUCT:2023-505311-20-01](#)) läuft derzeit in über 160 Studienzentren weltweit und untersucht Gotistobart bei Patientinnen und Patienten mit metastasiertem Plattenepithelkarzinom der Lunge. In einer Datenauswertung aus der nicht-zulassungsrelevanten Dosisfindungsphase der Studie zeigte Gotistobart einen klinisch relevanten Gesamtüberlebensvorteil (overall survival benefit, „OS benefit“) im Vergleich zur Standard-Chemotherapie und ein kontrollierbares Sicherheitsprofil bei Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge, deren Erkrankung nach einer anti-PD-(L)1-Therapie und einer platinbasierten Chemotherapie fortgeschritten war. Diese Daten wurden zuvor in einem Vortrag auf der IASLC ASCO 2025 North America Conference on Lung Cancer bekanntgegeben und [vorgestellt](#). Zusätzlich zu dem kürzlich erteilten Orphan-Drug-Status hat die FDA im Jahr 2022 den Fast-Track-Status für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit metastasiertem nicht-kleinzelligem Lungenkrebs, deren Erkrankung unter vorheriger anti-PD-(L)1-Behandlung fortgeschritten war, erteilt.

Über Gotistobart (BNT316/ONC-392)

BNT316/ONC-392 (Gotistobart) ist ein Kandidat, der gemeinsam von BioNTech und OncoC4 entwickelt wird, um regulatorische T-Zellen in der Mikroumgebung des Tumors selektiv zu eliminieren. Als pH-sensitiver monoklonaler Antikörper ist Gotistobart so konzipiert, dass er das Recycling des CTLA-4-Proteins ermöglicht. Nach der Bindung an den CTLA-4-Rezeptor auf der Zelloberfläche wird der Komplex internalisiert, und die pH-Änderung bewirkt, dass sich der Antikörper löst, sodass CTLA-4 an die Oberfläche zurückkehren kann, um die Immun-Checkpoint-Funktion in peripheren Organen aufrechtzuerhalten und die Anti-Tumor-Immunität in der Tumormikroumgebung zu verstärken⁵. Gotistobart befindet sich derzeit in der fortgeschrittenen klinischen Entwicklung als Mono- oder Kombinationstherapie in verschiedenen Krebsindikationen. Gotistobart erhielt 2022 von der U.S.-amerikanischen Arzneimittelbehörde (U.S. Food and Drug Administration, „FDA“) den Fast-Track-Status für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit metastasiertem, nicht-kleinzelligem Lungenkrebs, deren Erkrankung unter vorheriger anti-PD-(L)1-Behandlung fortgeschritten war, sowie 2025 die Breakthrough Therapy Designation der chinesischen National Medical Products Administration („NMPA“).

Über die PRESERVE-003-Studie

PRESERVE-003 ([NCT05671510](#); [EUCT:2023-505311-20-01](#)) ist eine zweistufige, nicht-verblindete (open-label) klinische Phase-3-Studie, in der die Wirksamkeit und Sicherheit von Gotistobart als Monotherapie im Vergleich zur Standard-Chemotherapie (Docetaxel) bei Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge untersucht wird, bei denen die Krankheit unter Behandlung mit PD-(L)1-Inhibitoren fortgeschritten ist. Der nicht-zulassungsrelevante Teil der Studie schloss ursprünglich alle Patientinnen und Patienten mit nicht-kleinzelligem Lungenkrebs ein. Der derzeit laufende zulassungsrelevante Teil der Studie umfasst ausschließlich Patientinnen und Patienten mit Plattenepithelkarzinom der Lunge. In diesem zulassungsrelevanten Studienabschnitt sollen Patientinnen und Patienten an klinischen Zentren in verschiedenen Ländern und Regionen rekrutiert werden, darunter Australien, Belgien, Kanada, China, Deutschland, Italien, die Niederlande, Spanien, Südkorea, die Türkei, das Vereinigte Königreich und die Vereinigten Staaten. Der primäre Endpunkt der Studie ist das Gesamtüberleben (overall survival, „OS“). Zu den sekundären Endpunkten gehören die Gesamtansprechrate (overall response rate, „ORR“), das progressionsfreie Überleben (progression-free survival, „PFS“) sowie das Sicherheitsprofil.

Über BioNTech

Biopharmaceutical New Technologies (BioNTech) ist ein globales innovatives Immuntherapie-Unternehmen, das bei der Entwicklung von Therapien gegen Krebs und andere schwere Erkrankungen Pionierarbeit leistet. Das Unternehmen kombiniert eine Vielzahl an modernen therapeutischen

Plattformen und Bioinformatik-Tools, um die Entwicklung innovativer Biopharmazeutika rasch voranzutreiben. Das diversifizierte Portfolio an onkologischen Produktkandidaten umfasst mRNA-Krebsimmuntherapien, innovative Immunmodulatoren und Präzisionstherapien, wie Antikörper-Wirkstoff-Konjugate und innovative chimäre Antigenrezeptoren (CAR)-T-Zelltherapien und zielt darauf ab, das gesamte Spektrum an Krebserkrankungen abzudecken. Auf Basis ihrer umfassenden Expertise bei der Entwicklung von mRNA-Therapien und -Impfstoffen und unternehmenseigener Herstellungskapazitäten erforscht und entwickelt BioNTech neben ihrer diversifizierten Onkologie-Pipeline gemeinsam mit Kollaborationspartnern verschiedene mRNA-Impfstoffkandidaten für eine Reihe von Infektionskrankheiten. BioNTech arbeitet Seite an Seite mit weltweit renommierten und spezialisierten Kollaborationspartnern aus der pharmazeutischen Industrie, darunter Bristol Myers Squibb, Duality Biologics, Fosun Pharma, Genentech (ein Unternehmen der Roche Gruppe), Genmab, MediLink, OncoC4, Pfizer und Regeneron.

Weitere Information finden Sie unter: www.BioNTech.de.

Zukunftsgerichtete Aussagen von BioNTech

Diese Mitteilung enthält bestimmte in die Zukunft gerichtete Aussagen im Rahmen des angepassten Private Securities Litigation Reform Act von 1995, einschließlich, aber nicht begrenzt auf ausdrückliche oder implizite Aussagen bezogen auf: die Zusammenarbeit mit OncoC4; die Fähigkeit von BioNTech und OncoC4, Gotistobart (auch bekannt als BNT316 oder ONC-392) gemeinsam erfolgreich zu entwickeln und zu vermarkten, sofern zugelassen; die Geschwindigkeit und der Umfang der Marktakzeptanz von Gotistobart, sofern zugelassen; der Beginn, Zeitplan, Fortschritt und die Ergebnisse von BioNTechs Forschungs- und Entwicklungsprogrammen, einschließlich der laufenden klinischen Phase-3-Studie PRESERVE-003; Erwartungen in Bezug auf die möglichen Indikationen in denen Gotistobart zugelassen werden könnte, falls überhaupt; und Gespräche mit den Aufsichtsbehörden. In manchen Fällen können die zukunftsgerichteten Aussagen durch Verwendung von Begriffen wie „wird“, „kann“, „sollte“, „erwartet“, „beabsichtigt“, „plant“, „zielt ab“, „antizipiert“, „glaubt“, „schätzt“, „prognostiziert“, „potenziell“, „setzt fort“ oder die negative Form dieser Begriffe oder einer anderen vergleichbaren Terminologie identifiziert werden, allerdings müssen nicht alle zukunftsgerichteten Aussagen diese Wörter enthalten.

Die zukunftsgerichteten Aussagen in dieser Mitteilung basieren auf BioNTechs aktuellen Erwartungen und Überzeugungen hinsichtlich zukünftiger Ereignisse, und sind weder Versprechen noch Garantien. Sie sollten nicht als solche angesehen werden, da sie einer Reihe von bekannten und unbekanntem Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren unterliegen, von denen viele außerhalb der Kontrolle von BioNTech liegen und die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse wesentlich und nachteilig von denen abweichen, die in diesen zukunftsgerichteten Aussagen ausdrücklich oder implizit zum Ausdruck gebracht werden. Den Leserinnen und Lesern wird empfohlen, die Risiken und Unsicherheiten unter „Risk Factors“ in BioNTechs Bericht 6-K für das am 30. September 2025 endende Quartal und in den darauffolgend bei der SEC eingereichten Dokumenten zu lesen. Sie sind auf der Website der SEC unter www.sec.gov verfügbar. Diese zukunftsgerichteten Aussagen gelten nur zum Zeitpunkt der Veröffentlichung dieser Pressemitteilung. Außerhalb rechtlicher Verpflichtungen übernimmt BioNTech keinerlei Verpflichtung, solche in die Zukunft gerichteten Aussagen nach dem Datum dieser Pressemitteilung zu aktualisieren, um sie an die tatsächlichen Ergebnisse oder Änderungen der Erwartungen anzupassen.

Über OncoC4

OncoC4 mit Sitz in Rockville, Maryland, ist ein privat geführtes biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Erforschung und Entwicklung innovativer Biologika für die Behandlung von Krebs und immunologischen Erkrankungen fokussiert und über Kandidaten im fortgeschrittenen klinischen Stadium verfügt. Die Pipeline von OncoC4 umfasst Kandidaten mit first-in-class- und best-in-class-Potenzial, die sowohl neue als auch gut validierte Zielstrukturen in den Bereichen Onkologie und Immunologie adressieren. Dazu gehört AI-081, ein proprietärer, bispezifischer Antikörperkandidat, der auf PD-1 und VEGF abzielt. ONC-841 ist ein first-in-class Anti-SIGLEC10-Antikörper, der sich derzeit in einer klinischen Phase-2-Studie für onkologische Indikationen befindet und auch bei neurodegenerativen Erkrankungen untersucht wird. OncoC4 hat zudem eine strategische Kollaboration mit BioNTech geschlossen zur gemeinsamen Entwicklung von Gotistobart (BNT316/ONC-392), einem Kandidaten für die selektive Eliminierung von Tregs in der Tumormikroumgebung. Der gegen CTLA-4 gerichtete Kandidat wird in mehreren soliden Tumorindikationen untersucht, darunter eine laufende zulassungsrelevante klinische Studie zur Behandlung des Plattenepithelkarzinoms der Lunge.

Weitere Informationen: www.oncoc4.com.

Hinweis: Dies ist eine Übersetzung der englischsprachigen Pressemitteilung. Im Falle von Abweichungen zwischen der deutschen und der englischen Version hat ausschließlich die englische Fassung Gültigkeit.

KONTAKTE

BioNTech

Mediananfragen

Jasmina Alatovic
Media@BioNTech.de

Investoranfragen

Dr. Douglas Maffei
Investors@BioNTech.de

OncoC4

Mediananfragen

Helen Schiltz
hschiltz@oncoc4.com

Investoranfragen

Ryan Cui
ir@oncoc4.com

¹ Zhang Y. et al. (2023) Global variations in lung cancer incidence by histological subtype in 2020: a population-based study. *Lancet Oncol.* 24(11):1206-1218.

- ² Lau S. et al. (2022) Squamous cell lung cancer: Current landscape and future therapeutic options. *Cancer Cell*. Volume 40, Issue 11, 1279 – 1293.
- ³ Hu S. et al. (2021) Prognosis and Survival Analysis of 922,217 Lung Cancer Patients from the US Based on the Most Recent Data from the SEER Database (April 15, 2021), *International Journal of General Medicine*, Volume 14, 9567-9588.
- ⁴ Santos E et al. Treatment Considerations for Patients With Advanced Squamous Cell Carcinoma of the Lung. *Clinical Lung Cancer*, Volume 23, Issue 6, 457 – 466.
- ⁵ Zhang Y et al. (2019) Hijacking antibody-induced CTLA-4 lysosomal degradation for safer and more effective cancer immunotherapy. *Cell Res*. 29:609-627.