

Pressemeldung

Arbeitsgruppe Neue Therapieansätze, Monitoring und Vorstand des Deutschen Netzwerk Gedächtnisambulanzen (DNG)

Tau-gerichtete Therapie bei Alzheimer: Phase-2-Daten liefern Hinweise – klinischer Nutzen bleibt zu bestätigen

Die Firma Biogen berichtet Ergebnisse der CELIA-Studie zu Diranersen, welche in einer randomisierten Phase-2-Studie Effekte einer gegen die Tau-pathologie gerichteten Therapie auf Biomarker und klinische Parameter zeigt. Der vordefinierte primäre Endpunkt der Studie, nämlich eine Dosis-abhängige Beeinflussung der Krankheitsprogression wird nicht erreicht. Überraschender Weise stellt sich die niedrigste Dosis als am wirksamsten dar. Das Deutsche Netzwerk Gedächtnisambulanzen ordnet die Daten als wichtigen klinisch-wissenschaftlichen Fortschritt ein und begrüßt die geplante Phase-3-Studie, welche zum Ziel hat, den klinischen Nutzen nachzuweisen.

Stand: 15. Mai 2026

Die vom Hersteller in einer Pressemitteilung berichteten Topline-Ergebnisse der Phase-2-CELIA-Studie zu Diranersen (BIIB080) markieren aus Sicht des Deutschen Netzwerk Gedächtnisambulanzen (DNG) einen wichtigen Entwicklungsschritt bei dem Bemühen krankheitsmodifizierende Therapien für die Behandlung der Alzheimer-Krankheit zu etablieren. Erstmals zeigen Daten einer randomisierten Phase-2-Studien, dass ein gegen Tau gerichteter Therapieansatz nicht nur Biomarker der Tau-Pathologie deutlich beeinflussen kann, sondern möglicherweise auch mit klinischen Effekten einhergeht.

In die Studie eingeschlossen wurden Patientinnen und Patienten mit früher Alzheimer-Krankheit (MCI oder leichtgradige Demenz bei nachgewiesener Amyloid-Pathologie) und damit eine Population, die im Wesentlichen denjenigen der bisherigen Studien zu anti-Amyloid-Therapien entspricht. Der Wirkansatz adressiert über eine Reduktion der Tau-Proteinproduktion ein zentrales Element der Erkrankung, wobei die Tau-Pathologie (im Gegensatz zur Amyloid-Pathologie) eng mit der klinischen Symptomatik und Krankheitsprogression korreliert. Gleichzeitig bleibt unklar, ob und in welchem Ausmaß klinisch relevante Effekte auf die Kognition vorliegen: Zwar werden Hinweise auf eine Verlangsamung der Verschlechterung über mehrere Dosisgruppen berichtet, das Fehlen

einer konsistenten Dosis-Wirkungs-Beziehung lässt diese Befunde jedoch schwer interpretierbar erscheinen. Ebenso ist derzeit nicht beurteilbar, ob potenzielle Effekte vergleichbar mit denen zugelassener anti-Amyloid-Therapien sind. Vor dem Hintergrund der bislang ausschließlich qualitativen Topline-Berichterstattung sollte eine mögliche regulatorische Bewertung aus Sicht des DNG erst auf Grundlage eindeutig nachgewiesener klinischer Effekte auf kognitive Endpunkte in entsprechend konzipierten Phase-3-Studien erfolgen.

Diranersen gehört zur Klasse der Antisense-Oligonukleotide (ASO) und unterscheidet sich damit grundlegend von den derzeit eingesetzten antikörperbasierten Therapien. Während monoklonale Antikörper extrazelluläre Proteinaggregate – wie Amyloid-Plaques – binden und deren Entfernung aus dem Gehirn fördern, greifen ASO-Therapien intrazellulär an, indem sie gezielt die mRNA des Tau-Proteins adressieren und so dessen Produktion reduzieren. Der Ansatz zielt damit früher im pathophysiologischen Prozess an und unterscheidet sich sowohl mechanistisch als auch hinsichtlich Applikation (intrathekale Gabe) und potenzieller Effektdynamik deutlich von Antikörperstrategien.

Konkrete Daten zu Effektgrößen, statistischer Signifikanz, Subgruppen oder zur Größe der beobachteten Biomarkerveränderungen wurden bisher nicht veröffentlicht. Eine belastbare klinische Einordnung ist auf dieser Grundlage derzeit nur eingeschränkt möglich. Gleichzeitig ist ebenso klar, die Studie hat ihren primären Endpunkt nicht erreicht. Ein belastbarer Nachweis für einen klinischen Nutzen liegt damit aktuell noch nicht vor. Um die Versorgung zu ändern, werden positive klinische Ergebnisse aus der geplanten Phase-3-Studie benötigt.

Die vorliegenden Informationen zeigen eine typische Ambivalenz. Biologisch überzeugende Effekte stehen einer noch unklaren klinischen Wirksamkeit gegenüber. Besonders die fehlende konsistente Dosis-Wirkungs-Beziehung sowie das Fehlen quantitativer Angaben erschweren noch eine fundierte Bewertung. Aus Sicht des DNG ist es daher wichtig, zwischen frühen wissenschaftlichen Signalen und belastbaren klinischen Evidenzen klar zu unterscheiden. Entscheidend ist eine differenzierte Einordnung:

- Die Daten stützen die Plausibilität Tau-gerichteter Therapien
- Sie zeigen ein erstes konsistentes Signal über Biomarker und klinische Parameter hinweg
- Sie belegen jedoch noch keinen gesicherten klinischen Nutzen

Diranersen bleibt damit, zumindest vorerst, ein vielversprechender Kandidat für einen neuen wirksamen Therapieansatz. Zugleich machen die Ergebnisse deutlich, dass sich die Alzheimer-Therapie konzeptionell weiterentwickelt. Neben Amyloid rückt Tau zunehmend als therapeutisches Ziel in den Fokus. Hinzu kommt, die intrathekale Applikation stellt hohe



Anforderungen an die Versorgung, Indikationsstellung, Durchführung und Monitoring sind komplex und erfordern spezialisierte, interdisziplinäre Strukturen.

Die vollständigen Ergebnisse der Studie sollen auf der Alzheimer's Association International Conference (AAIC) 2026 sowie auf weiteren wissenschaftlichen Kongressen präsentiert werden. Erst auf dieser Grundlage wird eine differenzierte Bewertung von Wirksamkeit, Sicherheit und klinischer Relevanz möglich sein. Gedächtnisambulanzen werden dabei eine Schlüsselrolle einnehmen, in der präzisen Diagnostik, der Auswahl geeigneter Patientinnen und Patienten und der sicheren Umsetzung komplexer Therapien.

Ausgewählte Quellen

Biogen Inc.: Topline Results Phase 2 CELIA Study of Diranersen (BIIB080), 14.05.2026, <https://investors.biogen.com/news-releases/news-release-details/topline-results-phase-2-celia-study-diranersen-biib080-first>

ClinicalTrials.gov: CELIA (NCT05399888)