

PILA PHARMA forbereder proof-of-concept studie i sjældnen smertesygdom

PILA PHARMA offentliggjorde mandag, at selskabet forbereder et proof-of-concept-studie i en sjældnen smertesygdom.

PILA PHARMA offentliggjorde mandag, at selskabet går i gang med at forberede en ansøgning om at starte et klinisk *proof-of-concept* forsøg i den sjældne smertesygdom erytromelalgi. Målet er at teste om deres lægemiddelkandidat XEN-D0501 (en oral TRPV1-hæmmer) kan lindre patienternes smerte. Der findes ingen nuværende behandlinger.

Næste skridt og værdien af sygdomsområdet

Næste skridt er forberedelse af den kliniske ansøgning til et mindre proof-of-concept studie i erytromelalgi, før et senere fase 2/3 registrerings studie. PILA PHARMA har allerede fået regulatorisk medvind, da selskabet har fået tildelt 'orphan drug designation' fra FDA (i 2022) for erytromelalgi, hvilket typisk giver incitamenter, forkortede udviklingsforløb og omkostninger, og 7 års markeds eksklusivitet efter eventuel godkendelse. Selskabet har tidligere meddelt at ved positive proof-of-concept data forventes en lignende 'designation' at blive tildelt af EMA (det europæiske lægemiddelsagentur), med eksklusivitet i EU i 10 år.

PILA PHARMA forventer, at det forventeligt vil tage ca 3 år at køre studierne frem til registrering, men selvfølgelig med nødvendig funding undervejs. Hvis resultaterne er positive, samt at produktet vil kunne opnå 7 års markedseksklusivitet i USA efter godkendelse. Sjældne sygdomme kan generelt generere noget højere priser pga den lave volumen i antallet af patienter. Det vides ikke med sikkerhed hvor mange patienter der findes konkret.

Erytromelalgi er en ekstremt invaliderende smertefuld tilstand med brændende smerter/rødme i ekstremiteter og manglende meningsfulde behandlingsmuligheder, hvorfor et produkt vil have potentiale til at hjælpe mange patienter. [Det svenske analysehus Analyst Group estimerede](#) i deres sidste rapport at erytromelagi potentielt kunne opnå salg på over SEK 3 mia årligt. Med en ca 3-årig timeline til markedet vil virksomheden kunne blive betydeligt hurtigt lønsom og ikke være afhængig af kapitaludvidelser.

Videnskaben bag

PILA PHARMA arbejder på at hæmme aktiviteten på TRPV1 receptoren der spiller en nøglerolle i forhold til at regulere smerte og inflammation. Receptoren er tidligere blevet ekstensivt studeret i forhold til at udvikle nye ikke-afhængighedsdannende smertestillende midler der adskiller sig fra opioider. Der er altså solidt videnskabelig konsensus og rationale omkring at hæmning af TRPV1 kan reducere opfattelsen af smerte – noget der bestyrker PILA PHARMA i nu at satse videre på sygdommen. Ved effektfulde studier kan PILA PHARMA meget vel udvide til også at undersøge flere smertefulde sygdomme og potentielt åbne op for bredere brug af lægemiddelkandidaten XEN-D0501 indenfor smertebehandling. Persistence Research estimerer at markedet for

smertestillende opioider (der er svært afhængighedsdannende) kunne opgøres til ca \$45. mia dollars i 2025 og forventes at vokse til \$62.mia dollars i 2032. Det kan altså blive et attraktivt ekstra område med store muligheder.

Stifter og videnskabelig direktør hos PILA PHARMA, Dorte X. Gram udtaler:

Jeg er meget glad for, at vi nu aktivt kan begynde at forberede os på at undersøge effekten af vores førende kandidat i erytromelalgi. Patienter kontakter mig ofte, da de har hørt om PILA's ambitioner om at udvikle en god behandling, der kan lette deres daglige lidelser. Som jeg forstår det fra dem, jeg har talt med, har de ikke meningsfulde behandlingsmuligheder. Så hvis XEN-D0501 er effektiv til at lindre smerter uden alt for mange sikkerhedsproblemer, vil det virkelig være en gamechanger for dem og give dem mulighed for at genoptage et normalt liv uden de næsten konstante smerter. I PILA er vi drevet af et ønske om at helbrede, og det ville være meget meningsfuldt, hvis vi kunne hjælpe med at reducere lidelserne hos mennesker, der lever med erytromelalgi.

PILA PHARMA's videnskabelige ekspert i smertebehandling, Hans Quiding, fortsætter:

Det er fantastisk forhåbentlig at kunne bringe lindring til mennesker, der lever med erytromelalgi, og som i øjeblikket mangler godkendte behandlingsmuligheder. Jeg har arbejdet indgående med TRPV1-hæmmere til smertebehandling igennem mange år hos AstraZeneca, og jeg er meget håbeful for, at dette molekyle med sin unikke sikkerhedsprofil kan være af stor værdi for EM-patienter. En lille tablet er klart at foretrække, fordi den kan synkes hurtigt og nemt under anfald. Desuden fordeles lægemidlet ved systemisk optagelse hurtigt til fødderne og også til andre berørte områder af kroppen. Tabletten kan potentielt også bruges til forebyggende behandling, så det ikke kun er, når patienterne har anfald, men måske forhindre, at de opstår i første omgang. Det ville være fantastisk.

Kontakter

Mail: markus@vaekstaktier.dk

Telefon: 50 42 99 18

Om os

Disclaimer: Vækstaktier har et betalt IR-samarbejde med det omtalte selskab. Indholdet er til informationsmål og videreformidling af selskabets egen kommunikation.

Hjemmeside: vaekstaktier.dk