

Abliva meddelar att resultat från fas 1a/b-studie med KL1333 publicerats i den vetenskapliga tidskriften Brain

-Resultaten visade att KL1333 var säker och väl tolererad, med tidiga tecken på effekt hos patienter med primär mitokondriell sjukdom-

Abliva AB (Nasdaq Stockholm: ABLI), ett bolag i klinisk fas som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynt och svår primär mitokondriell sjukdom, meddelade idag att fas 1a/b-studien med KL1333 i friska frivilliga och patienter har publicerats i den ansedda vetenskapliga tidskriften *Brain*.

Artikeln, med titeln *Optimising rare disorder trials: a phase 1a/1b randomized study of KL1333 in adults with mitochondrial disease*, av Dr. Pizzamiglio et al., kan nås via följande länk: <http://academic.oup.com/brain/article-lookup/doi/10.1093/brain/awae308>.

Som Abliva tidigare meddelat har bolaget slutfört en klinisk fas 1a/b-studie med läkemedelskandidaten KL1333 i friska frivilliga (n=64) och en kohort av patienter med primär mitokondriell sjukdom (n=8). Det primära syftet med studien var att utvärdera säkerheten och omsättningen i kroppen (farmakokinetik) för KL1333 i friska frivilliga och säkerhets- och effektprofilen hos patienter. Resultaten visade att KL1333 var säker och tolererades väl. Dessutom fanns det tecken på effekt samt ett samband mellan exponering och effekt i de två huvudsakliga effektmåtten som studerades – svår trötthet och utmattning (*eng. fatigue*) samt myopati (muskelsvaghet).

"En publikation i en ansedd tidskrift som Brain belyser vikten av dessa fynd och validerar den adaptiva studiedesignen, vilken har legat till grund för Ablivas pågående fas 2-studie FALCON med KL1333 i primär mitokondriell sjukdom", säger Magnus Hansson, medicinsk chef på Abliva. "Vi anser att det är viktigt att involvera patienter tidigt, särskilt i studier med sällsynta sjukdomar, och vi ser fram emot att avancera KL1333 genom klinisk utveckling så snabbt som möjligt."

Dessa resultat stödjer ytterligare den globala, potentiellt registreringsgrundande FALCON-studien i vuxna patienter med mitokondriell sjukdom som upplever svår trötthet/utmattning och muskelsvaghet. Den första patienten i det första steget av studien doserades i juni 2023. I juli 2024 genomfördes en interimsanalys där 24-veckorsdata från patienterna i det första steget av studien utvärderades. Analysen visade att båda de oberoende och alternativa primära effektmåtten klarade futilitetstestet, bekräftade KL1333:s goda säkerhetsprofil samt fastställde att studien ska rekrytera totalt 180 patienter. Se nyheten i sin helhet [här](#).

Om Ablivas kliniska fas 1a/b-studie med KL1333

Ablivas kliniska fas 1a/b-studie var en dubbelblindad, randomiserad, placebokontrollerad studie med syftet att utvärdera säkerheten och omsättningen i kroppen för KL1333, bolagets läkemedelskandidat för oral långtidsbehandling av primär mitokondriell sjukdom. Studien genomfördes i Storbritannien och var indelad i fyra delar: tre med friska frivilliga och en med patienter. Patienterna rekryterades i London av professor Robert Pitceathlys team vid UCL Queen Square Institute of Neurology och National Hospital for Neurology and Neurosurgery och i Newcastle av professor Grainne S. Gormans team vid Wellcome Trust Centre for Mitochondrial Research. Studien slutfördes våren 2021.

Om FALCON-studien

FALCON är en global, randomiserad, placebokontrollerad och potentiellt registreringsgrundande fas 2-studie där säkerhet och effekt av KL1333 utvärderas hos vuxna patienter med primär mitokondriell sjukdom som upplever ihållande och svår trötthet /utmattning och myopati (muskelsvaghet), vilka är de vanligaste och mest begränsande symptomen. Totalt 180 patienter med mutationer i det mitokondriella DNA:t som uppfyller inklusionskriterierna randomiseras 3:2 för att få KL1333 (50 mg-100 mg) eller placebo två gånger dagligen i 48 veckor. Genom de två alternativa primära effektmåtten bedöms ihållande trötthet/utmattning (med frågeformuläret PROMIS Fatigue Mitochondrial Disease) och muskelsvaghet (med 30 Second Sit-to-Stand-testet), varav endast ett måste vara positivt för ansökan om marknadsgodkännande. En interimanalys där 24-veckorsdata från patienterna i det första steget av studien utvärderades bekräftade KL1333:s goda säkerhetsprofil, och båda effektmåtten klarade futilitetstestet, dvs båda har potential att kunna påvisa effekt i studiens slutliga analys.

Om KL1333

Ablivas huvudkandidat KL1333 har utformats för att behandla kronisk trötthet och utmattning samt myopati (muskelsvaghet) hos vuxna patienter med en genetiskt bekräftad primär mitokondriell sjukdom. Diagnoser kan inbegripa sjukdomsspektrumen MELAS-MIDD och KSS-CPEO samt MERRF:s syndrom. Läkemedelskandidaten är avsedd för oral långtidsbehandling. KL1333 har förmågan att återställa nivåerna av NAD⁺ och NADH och bidrar därigenom till nybildning av mitokondrier och förbättrade energinivåer. I en kohort av patienter med mitokondriell sjukdom, i en fas 1a/b-studie, visade de patienter som fick KL1333 både förbättringar i symtom på svår trötthet och utmattning samt funktionella förbättringar. KL1333 utvärderas i en global, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie. (FALCON-studien) och har erhållit särklassificering i både USA och Europa samt Fast Track-status i USA.

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
09 december 2024 08:32:00 CET - Lund



Om primär mitokondriell sjukdom

Primär mitokondriell sjukdom drabbar cellernas energiomsättning. Den kan yttra sig väldigt olika beroende på vilka organ som är påverkade samt antalet dåligt fungerande mitokondrier i varje organ. Historiskt har den beskrivits som kliniska syndrom, men kunskapen om de olika mutationerna som ligger bakom mitokondriell sjukdom har ökat, vilket gjort det enklare att identifiera och behandla dessa patienter. Uppskattningsvis har 1 av 5 000 personer primär mitokondriell sjukdom. Den debuterar ofta i tidiga barnår och kan leda till svåra symptom som utvecklingsstörningar, uttalad trötthet och utmattning, muskelsvaghet, hjärtsvikt, och hjärtrytmstörningar, diabetes, rörelsehinder, strokeliknande tillstånd, dövhet, blindhet, begränsad ögonrörlighet och epileptiska kramper.

Abliva - Delivering mitochondrial health

Abliva bedriver forskning och utvecklar läkemedel för behandling av mitokondriell sjukdom. Denna medfödda, sällsynta och ofta mycket svåra sjukdom uppstår då cellens energiförsörjare, mitokondrierna, inte fungerar som de ska. Bolaget fokuserar på två projekt. KL1333, en kraftfull reglerare av nivåerna av de essentiella koenzymen NAD⁺ och NADH, har gått in i sen utvecklingsfas. NV354 är en energiersättningsbehandling där den prekliniska utvecklingen har slutförts. Abliva, med sin bas i Lund, är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: ABLI). För mer information, gå till www.abliva.com. Prenumerera på våra [nyheter](#) och följ oss på [LinkedIn](#) och [YouTube](#).

För mer information, kontakta:

Catharina Johansson, Vice VD, Finanschef & IR-ansvarig
+46 (0)46-275 62 21, ir@abliva.com

Abliva AB (publ)

Medicon Village, 223 81 Lund, Sverige
Tel: +46 (0)46 275 62 20 (växel)
info@abliva.com, www.abliva.com

Bifogade filer

[Abliva meddelar att resultat från fas 1a/b-studie med KL1333 publicerats i den vetenskapliga tidskriften Brain](#)