

## **Abliva rapporterar positiva resultat för KL1333 i klinisk fas 1a/b-studie, inklusive tecken på effekt hos PMD-patienter**

**Abliva AB (Nasdaq Stockholm: ABLI), ett biofarmaceutiskt företag i klinisk fas som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynta och allvarliga primära mitokondriella sjukdomar (PMD), meddelar idag positiva säkerhetsdata och farmakokinetiska data från den dubbelblindade, randomiserade, placebokontrollerade fas 1a/b-studien med KL1333, samt tecken på effekt i relevanta kliniska effektmått hos patienter med primära mitokondriella sjukdomar.**

Det primära syftet med den dubbelblindade, randomiserade, placebokontrollerade fas 1a/b-studien var att utvärdera säkerheten och omsättningen i kroppen för KL1333, Ablivas läkemedelskandidat för oral långtidsbehandling av PMD, hos både friska frivilliga och hos patienter. Data från studien bekräftar data för ökande engångsdoser från en tidigare fas 1-studie och visar för första gången data för multipla ökande doser från friska frivilliga samt upprepad daglig dosering i patienter. Studien innehöll en analys av kostens inverkan och uppdelad dosering av KL1333 hos friska frivilliga samt en fullständig sammanfattning av farmakokinetiska (för omsättning i kroppen) parametrar hos både friska frivilliga och patienter med primära mitokondriella sjukdomar.

”Det här är en mycket viktig klinisk prövning för personer med primära mitokondriella sjukdomar. Studieresultaten stöder den fortsatta utvecklingen av denna innovativa behandlingssubstans mot de senare faserna inom läkemedelsutveckling, i en patientpopulation med stora medicinska behov. Jag ser fram emot ett fortsatt aktivt samarbete med Abliva när de tar sin portfölj med nya läkemedelskandidater vidare mot marknadsgodkännande”, säger dr Robert Pitceathly, ansvarig prövare för del 1b av studien, klinisk forskare och medlem av det brittiska medicinska forskningsrådet (MRC) samt överläkare i neurologi vid University College London (UCL) Queen Square Institute of Neurology och National Hospital for Neurology and Neurosurgery.

I en kohort av åtta patienter med primära mitokondriella sjukdomar (sex doserade med KL1333, två med placebo), fanns det tecken på effekt i väletablerade relevanta kliniska effektmått, däribland två olika patientrapporterade mått på uttalad trötthet och utmattning (eng. fatigue) och ett funktionsmått, så kallat *30-Second Sit to Stand*. Även om studien inte främst var utformad för att utvärdera effekt och doseringen endast varade i 10 dagar var den genomsnittliga förändringen numeriskt större hos de patienter som doserades med KL1333 jämfört med placebogruppen, för alla tre effektmått. Dessutom fanns det ett samband mellan nivåerna av KL1333 i patienterna och effekt.

”Vi var mycket nöjda med att se förändringen i två oberoende skalor för uttalad trötthet och utmattning efter bara 10 dagars dosering, eftersom det antyder att KL1333 genom sin verkningsmekanism fungerar snabbt. Det stärker vår tillförsikt vad gäller användandet av

# Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538  
19 maj 2021 18:10:00 CEST - Lund



---

uttalad trötthet och utmattning som ett primärt effektmått i vår kommande kliniska studie. Det faktum att patienterna med störst exponering av KL1333 fick bäst effekt med kliniskt meningsfulla förbättringar för alla tre effektmåtten, stöder vårt kliniska program när vi går vidare till vår fas 2/3-studie”, säger Ablivas medicinska chef Magnus Hansson.

Som Abliva tidigare meddelat förekom det inga allvarliga biverkningar under studien. En ytterligare granskning av säkerhetsdata bekräftar att det inte har förekommit några tecken på ogynnsamma effekter och förstärker den höga säkerhetsprofilen hos KL1333 efter dosering i över 100 friska frivilliga och patienter under utvecklingen. KL1333 var i allmänhet väl tolererat av både patienter och friska frivilliga. Den huvudsakliga dosbegränsande faktorn var tolerans mot biverkningar i mag-tarmkanalen, vilka mildrades genom att ge substansen två eller tre gånger per dag.

Dessutom har en andra farmakologisk studie som utvärderar samverkan mellan KL1333 och sju enzymer (CYP) som bryter ned andra läkemedel nyligen slutförts. I studien förekom endast en begränsad hämning av ett av de mindre vanliga enzymen (CYP1A2) i kohorten, vilket ytterligare stärker programmet framåt i utvecklingen.

”Det här datapaketet ökar vår tillförsikt inför vår kommande fas 2/3-studie, eftersom vi har bekräftat säkerheten hos KL1333, sett tidiga tecken på effekt från relevanta kliniska utfallsmått och fastställt ett bra doseringsschema”, säger Ablivas vd Ellen Donnelly. ”Bolaget kommer nu att granska samtliga data och arbeta på att slutföra det kliniska prövningsprotokollet för att gå vidare till att lämna in en IND-ansökan senare i år.”

*Denna information är sådan information som Abliva AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2021-05-19 18:10 CEST.*

## För mer information, kontakta:

---

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

### **Abliva AB (publ)**

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

Prenumerera på våra nyheter: <https://abliva.com/sv/poster/pressprenumeration/>

Följ oss på LinkedIn: <https://www.linkedin.com/company/abliva>

Prenumerera på vår YouTube-kanal: <https://www.youtube.com/channel/UCChqP7Ky5caXtp72CELhD6Mg>

---

## Om primära mitokondriella sjukdomar

---

Primära mitokondriella sjukdomar är ämnesomsättningssjukdomar som drabbar cellernas energiomsättning. Sjukdomarna kan yttra sig väldigt olika beroende på i vilka organ de genetiska defekterna finns. De har historiskt beskrivits som kliniska syndrom och på senare tid som sjukdomsspektrum, orsakade av genetiska fel som påverkar mitokondriefunktionen. Uppskattningsvis har 125 personer per 1 000 000 en primär mitokondriell sjukdom. Sjukdomarna 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.

---

## 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 primära mitokondriella sjukdomar. Studien samordnades och genomfördes av den kliniska forskningsorganisationen *Covance* i Leeds i Storbritannien och var indelad i fyra delar: tre med friska frivilliga och en med patienter. Patienterna rekryterades i Newcastle av professor Grainne S. Gormans team vid Wellcome Trust Centre for Mitochondrial Research, och i London av dr Robert Pitceathlys team vid UCL Queen Square Institute of Neurology och National Hospital for Neurology and Neurosurgery. Studien slutfördes våren 2021.

---

## Om KL1333

---

KL1333 är en kraftfull reglerare av nivåerna av cellulärt NAD<sup>+</sup>, ett koenzym centralt för cellens energimetabolism. KL1333 har i prekliniska studier visats öka mitokondriens energiproduktion, förmedla långsiktiga positiva effekter på energiomsättningen, stärka muskelfunktion och förbättra biomarkörer för mitokondriell sjukdom. Läkemedelskandidaten är avsedd för oral behandling av primära mitokondriella sjukdomar, i synnerhet sjukdomsspektrat MELAS-MIDD som i regel orsakas av mutationen m.3243A>G i mitokondriens DNA (mtDNA) vilket drabbar ca 35 av 1 000 000 personer. En ytterligare grupp är sjukdomsspektrat PEO-KSS, som orsakas av en förlust (deletion) av en stor del i mtDNA vilket drabbar 15 av 1 000 000 personer. Dessa patienter lider av funktionsnedsättande symptom såsom metabol dysfunktion, extrem trötthet, muskelsvaghet och dövhet. KL1333 genomgår för närvarande kliniska fas 1-studier och har erhållit särklassificering i både Europa och USA. KL1333 har inlicensierats från det koreanska läkemedelsbolaget Yungjin Pharm.

# Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538  
19 maj 2021 18:10:00 CEST - Lund



---

## **Abliva - Delivering mitochondrial health**

---

Abliva utvecklar läkemedel för behandling av primära mitokondriella sjukdomar. Dessa medfödda, sällsynta och ofta mycket svåra sjukdomar uppstår då cellens energiförsörjare, mitokondrierna, inte fungerar som de ska. Bolaget fokuserar på två projekt. KL1333, en kraftfull reglerare av nivåerna av NAD<sup>+</sup>, är i klinisk utveckling och har tilldelats särklassificering i Europa och USA. NV354, en energiersättningsbehandling (succinat) är i preklinisk utveckling. Abliva, med sin bas i Lund, är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: ABLI).

## **Bifogade filer**

---

[Abliva rapporterar positiva resultat för KL1333 i klinisk fas 1a/b-studie, inklusive tecken på effekt hos PMD-patienter](#)