

Abliva meddelar positiv interimspanalys av FALCON-studien för KL1333 i primär mitokondriell sjukdom

-Oberoende kommitté bekräftar att FALCON-studiens båda alternativa effektmått har passerat futilitetstest och därmed är studien positionerad för att nå framgång-

-Kommittén bekräftar KL1333:s goda säkerhetsprofil-

-Abliva kommer att hålla en telefonkonferens och webbsändning fredagen den 19 juli kl. 16:30-

Lund, Sverige, 18 juli 2024 — Abliva AB (Nasdaq Stockholm: ABLI), ett bolag i klinisk fas som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynt och svår primär mitokondriell sjukdom, meddelade idag ett positivt resultat av interimspanalysen av FALCON, den potentiellt registreringsgrundande studien som utvärderar KL1333 hos patienter med primär mitokondriell sjukdom. I studien utvärderas svår trötthet/utmattning och myopati (muskelsvaghet) som oberoende alternativa primära effektmått där endast en av dem krävs för ett positivt studieresultat. Den oberoende dataövervakningskommittén (DMC) rekommenderade att fortsätta studien utan några ändringar. Rekommendationen från DMC att fortsätta FALCON-studien med totalt 180 patienter validerar den övergripande studiedesignen och bekräftar KL1333:s goda säkerhetsprofil.

DMC har granskat 24-veckors interimspanalysdata från patientkohorten i Steg 1. I sin analys genomförde den oberoende kommittén en förspecificerad villkorsstyrd poweranalys för de två primära effektmåtten efter 24 veckors dosering. Båda effektmått passerade futilitetstestet och DMC rekommenderade att inkludera totalt 180 patienter, vilket innebär att sannolikheten ökar för ett positivt resultat vid slutförandet av den fullständiga studien. DMC betonade att KL1333 har en god säkerhetsprofil. Ingen säkerhetsproblematik eller några läkemedelsrelaterade allvarliga biverkningar (SAE) sågs under 24 veckors dosering.

Interimspanalysen genomfördes av en oberoende kommitté för att upprätthålla den stringens som krävs i en blindad läkemedelsstudie. Statistisk signifikans för de två primära effektmåtten kommer att utvärderas vid slutförandet av den fullständiga studien.

"Vi är glada över det positiva utfallet av interimspanalysen eftersom den belyser den positiva risk-nyttavärderingen för KL1333, vilket minskar risken i hela studien, samtidigt som det ökar vår tilltro till KL1333:s innovativa verkningsmekanism och utformningen av FALCON-studien", säger Ellen K. Donnelly, VD för Abliva. "Det finns för närvarande inga godkända behandlingar för mitokondriell sjukdom, och med över 85 000 människor drabbade i USA och Europa tror vi att KL1333 är väl positionerad för att möta det stora medicinska behovet och nå blockbusterpotential i viktiga geografiska områden. KL1333 har potential för en snabbare väg till marknaden, och vi är fast beslutna att snabbt ta detta viktiga läkemedel vidare till marknadsgodkännande, med planer på att starta det avslutande rekryteringssteget i FALCON-studien under andra halvåret 2024."

Telefonkonferens

Abliva kommer att hålla en telefonkonferens fredagen den 19 juli 2024 kl. 16:30 för att diskutera det positiva resultatet av interimsanalysen för FALCON. En direktsänd frågestund kommer att äga rum efter den formella presentationen. För att anmäla dig, [klicka här](#).

Ställ en fråga under den direktsända frågestunden genom att skicka ett mejl till questions@lifesciadvisors.com.

Om FALCON-studien

FALCON är en global, randomiserad, placebokontrollerad, potentiellt registreringsgrundande fas 2-studie som utvärderar säkerheten och effekten av KL1333 hos vuxna patienter med primär mitokondriell sjukdom som upplever svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet (myopati). 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 effektmått bedöms svår trötthet/utmattning (med frågeformuläret PROMIS Fatigue Mitochondrial Disease) och muskelsvaghet (med 30 Second Sit-to-Stand-testet), de vanligaste och mest försvagande sjukdomsuttrycken hos patienter med mitokondriell sjukdom.

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 barnaår och kan leda till svåra symptom som utvecklingsstörningar, uttalad trötthet och utmattning, muskelsvaghet, hjärtsvikt, och hjärtrytmstörningar, diabetes, rörelsehinder, storkeliknande tillstånd, dövhet, blindhet, begränsad ögonrörlighet och epileptiska kramper.

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 symptom på svår trötthet och utmattning samt funktionella förbättringar. KL1333 utvärderas i en global, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie. (FALCON-studien) och har erhållit säräkemedelsklassificering i både USA och Europa samt Fast Track-status i USA.

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
18 juli 2024 22:22:00 CEST - Lund



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 sin 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](#).

Denna information är sådan information som Abliva AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2024-07-18 22:22 CEST.

För mer information, kontakta:

IR-kontakt:

Joyce Allaire
Life Science Advisors
jallaire@lifesciadvisors.com
+1 617.435.6602

Bolagskontakt:

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 positiv interimsanalys av FALCON-studien för KL1333 i primär mitokondriell sjukdom](#)