

## **Abliva får positiv regulatorisk feedback från brittiska MHRA på studieplanen för fas II/III-studie med KL1333**

**Abliva AB (Nasdaq Stockholm: ABLI), ett biofarmaceutiskt företag i klinisk fas som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynta och svåra primära mitokondriella sjukdomar, meddelade idag att de har fått positiv feedback från den brittiska läkemedelsmyndigheten (MHRA) på den accelererade kliniska utvecklingsplanen för KL1333 mot primär mitokondriell sjukdom (PMD). Återkopplingen positionerar Abliva för ett prövningsgodkännande även i Storbritannien, för dess registreringsgrundande kliniska fas II /III-studie som planeras starta under andra halvåret 2021.**

Bolaget fick nyligen positiva rekommendationer från amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA som lett fram till den nuvarande planen att genomföra en registreringsgrundande fas II/III-studie.

"Den positiva återkopplingen från MHRA bekräftar ytterligare Ablivas beslut att avancera utvecklingen av KL1333, vår tillgång inom primära mitokondriella sjukdomar med blockbusterpotential, direkt in i en registreringsgrundande klinisk studie, ett beslut som kan komma att minska tiden till ett marknadsgodkännande med upp till två år. Stödet från både den amerikanska och brittiska tillsynsmyndigheten är mycket uppmuntrande i vår strävan att leverera en välbehövlig ny behandlingsmöjlighet till PMD-patienter", sa Ablivas VD Erik Kinnman.

Den registreringsgrundande fas II/III-studien kommer att inriktas på patienter med genetiskt bekräftad MELAS-MIDD- eller KSS-CPEO-sjukdomsspektrum med symtom som påverkar hela kroppen och från flera organ. Förberedande aktiviteter pågår, inklusive patientdelen av fas Ia /b-studien, en läkemedelsinteraktionsstudie i friska frivilliga samt insamling av data från den brittiska patientregisterstudien *MitoCohort*. Dessutom kommer bolaget att utföra en studie som validerar patientrapporterade effektmått, en doseringsstudie i friska frivilliga, samt *in vivo* toxikologiska långtidsstudier.

# Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538  
17 november 2020 09:00:00 CET - Lund



---

## För mer information, kontakta:

---

Catharina Johansson, CFO, IR & Communications  
+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)

För nyhetsprenumeration, gå in på: <http://abliva.com/sv/press-releases/subscription-page/>  
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 och beskrivs som kliniska syndrom. Uppskattningsvis har 125 personer per 1 000 000 en primär mitokondriell sjukdom. Primär mitokondriell sjukdom debuterar ofta i tidiga barnaår och kan leda till svåra symptom såsom utvecklingsstörningar, uttalad trötthet och utmattning, muskelsvaghet, hjärtsvikt, och hjärtrytmstörningar, diabetes, rörelsehinder, strokeliknande tillstånd, dövhet, blindhet, begränsad ögonrörlighet och kramper.

### **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 I-studier och har erhållit säriläkemedelsklassificering i både Europa och USA. KL1333 har inlicensierats från det koreanska läkemedelsbolaget Yungjin Pharm.

# Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538  
17 november 2020 09:00:00 CET - 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+, 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 får positiv regulatorisk feedback från brittiska MHRA på studieplanen för fas II/III-studie med KL1333](#)