

Abliva meddelar att första patienten doserats i FALCON-studien

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 den första patienten har doserats i bolagets globala kliniska fas 2-studie, FALCON-studien. Studien kommer att utvärdera effekterna av Ablivas ledande läkemedelskandidat KL1333 i patienter med primär mitokondriell sjukdom.

FALCON-studien, en global placebokontrollerad och potentiellt registreringsgrundande klinisk fas 2-studie, utvärderar effekterna av bolagets ledande läkemedelskandidat, KL1333, hos vuxna patienter med mitokondriell sjukdom som lider av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet.

Idag meddelade Dr Rita Horvath och hennes team vid Department of Clinical Neurosciences, Addenbrooke's Hospital i Cambridge, Storbritannien, att den första patienten har doserats i FALCON-studien. Studien fortgår nu till interimanalysen vilken kommer att inkludera data från cirka 40 patienter som behandlats i upp till sex månader. Interimanalysen är en blindad analys som kommer att utföras av en oberoende dataövervakningskommitté. De kommer att genomföra en futilitetsanalys som kommer att ge en uppskattning av studiens sannolikhet till positivt utfall samt en beräkning av hur många patienter som krävs för att slutföra hela studien, baserat på statistiska styrkan hos de två primära effektmåten. Denna informativa interimanalys förväntas under första halvåret 2024.

Bolaget meddelar också att alla länder i Steg 1 av studien (USA, Storbritannien, Frankrike, Spanien, Belgien och Danmark) har godkänt studien, och patienter kommer att rekryteras från över 15 kliniska centrum i dessa sex länder.

"Detta är en viktig milstolpe för bolaget och för patienter med mitokondriell sjukdom som dagligen lider av en funktionsnedsättande sjukdom utan godkända läkemedel. Vi är tacksamma för det starka engagemanget från våra kliniska centrum och våra prövare i att identifiera patienter, och vi är på god väg att rekrytera till Steg 1 av studien i år med interimanalysen nästa år", säger Ellen K. Donnelly, VD.

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
28 juni 2023 08:30:00 CEST - Lund



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

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 FALCON-studien

FALCON-studien är en global, randomiserad, placebokontrollerad, potentiellt registreringsgrundande, klinisk fas 2-studie med KL1333. Genom studien kommer bolaget att utvärdera säkerheten och effekten av KL1333 på primär mitokondriell sjukdom hos vuxna patienter med mutationer i mitokondriellt DNA, med fokus på svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet, vilka är de vanligaste och mest försvagande sjukdomsyttningarna hos dessa patienter. Bolaget kommer att rekrytera 120–180 patienter, i två steg, som kommer att få KL1333 eller placebo två gånger om dagen i 12 månader. En interimanalys kommer att ske efter Steg 1 och kommer att ge viktig statistisk information om säkerhet och powerberäkning inför Steg 2.

Om KL1333

KL1333 utvecklas som behandling för en undergrupp av vuxna patienter med primär mitokondriell sjukdom som lider av flera försvagande symptom, såsom kronisk trötthet och utmattning samt muskelsvaghet (myopati). Diagnoser kan inbegripa sjukdomsspektrumen MELAS-MIDD och KSS-CPEO samt MERRF:s syndrom. Substansen KL1333 reglerar nivåerna av cellulärt NAD⁺ och NADH, koenzym vilka är centrala för cellens energimetabolism. 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 säriläkemedelsklassificering i både USA och Europa.

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
28 juni 2023 08:30:00 CEST - 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 125 personer per 1 000 000 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, befinner sig i klinisk utvecklingsfas. NV354 är en energisättningsbehandling där den prekliniska utvecklingen har slutförts. Abliva, med sin bas i Lund, är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: ABLI).

Bifogade filer

[Abliva meddelar att första patienten doserats i FALCON-studien](#)