

Ablivas huvudkandidat KL1333 får Fast Track-status från FDA

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 bolagets huvudkandidat KL1333 har erhållit Fast Track-status från amerikanska Food and Drug Administration (FDA), vilket underlättar såväl den kliniska utvecklingen som vägen till marknad.

Ablivas främsta läkemedelskandidat KL1333 utvärderas för närvarande i FALCON-studien – en global, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie i patienter med mitokondriell sjukdom. Doseringen påbörjades i juni i år och en interimsanalys förväntas kring mitten av 2024.

FDA har nu beviljat Fast Track-status för KL1333. Denna status ger Abliva möjlighet till tätare möten och skriftlig kommunikation med FDA. Dessutom kan Abliva få fortlöpande återkoppling på varje enskild del av sin NDA-ansökan (*New Drug Application*, för försäljning och marknadsföring i USA) för KL1333, med möjligheten till påskyndad granskning och tidigare godkännande (*accelerated approval*) om vissa specifika kriterier möts.

– Fast Track-statusen är en kvalitetsstämpel för vår huvudkandidat och kommer att underlätta dialogen med de regulatoriska myndigheterna i USA. Vidare är denna status ett viktigt steg framåt då vi förbereder oss för en framgångsrik interimsanalys på vägen mot en helt ny läkemedelsbehandling inom detta område med extremt stort medicinskt behov, säger Ellen Donnelly, VD.

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>

Pressmeddelande

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



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 sjukdomsspektrumet 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.

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, har gått in i sin 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

[Ablivas huvudkandidat KL1333 får Fast Track-status från FDA](#)