

## Abliva inleder den globala FALCON-studien med huvudkandidaten KL1333

**Abliva AB (Nasdaq Stockholm: ABLI), ett biotechbolag i klinisk fas som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynta och svåra mitokondriella sjukdomar, meddelade idag att bolagets globala, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie med KL1333 (FALCON-studien) har startats.**

Ablivas huvudprogram KL1333, under utveckling för behandling av mitokondriellt DNA-relaterade primära mitokondriella sjukdomar hos vuxna patienter som lider av svår kronisk trötthet och muskelsvaghet, har nu gått in i sen klinisk utvecklingsfas med aktiveringen av det första studiecentrumet i FALCON-studien. Det globala teamet kommer nu att påbörja screeningen av patienter i studien, en potentiellt registreringsgrundande fas 2-studie, för att utvärdera KL1333:s säkerhet och effekt. Givet en screeningperiod på 8-12 veckor, förväntas den första patienten doseras under första kvartalet 2023.

Som tidigare kommunicerats är avsikten att en interimsanalys av de första 40 patienterna ska ske i slutet av 2023/början av 2024. Interimsanalysen kommer att ge insikt om den relativa chansen till framgång i studien samt ge information om antalet patienter som krävs i resterande del av studien.

*"Vi är glada över att idag kunna meddela starten av FALCON-studien, vars utformning stöds av positiva fas 1b-studieresultat, naturalförloppsdata samt värdefull feedback från patienter", säger Magnus Hansson, medicinsk chef. "Detta är en viktig milstolpe för både Abliva och patienterna, vilka desperat behöver behandlingar för sin sjukdom."*

### 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 vilka organ som är påverkade samt antalet dåligt fungerande mitokondrier i varje organ. De har historiskt 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 en primär mitokondriell sjukdom. Sjukdomarna 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 FALCON-studien

---

FALCON-studien är en global, randomiserad, placebokontrollerad, potentiellt registreringsgrundande, klinisk fas 2-studie med Ablivas huvudkandidat KL1333. Genom studien kommer bolaget att utvärdera säkerheten och effekten av KL1333 på kronisk trötthet och utmattning samt muskelsvaghet hos vuxna patienter med primära mitokondriella sjukdomar orsakade av mutationer i mitokondriellt DNA. Bolaget kommer att rekrytera 120–180 patienter som kommer att få KL1333 eller placebo två gånger om dagen i 12 månader. En interimanalys kommer att ske då sex månaders dosering i 40 patienter genomförts.

## Om KL1333

---

KL1333 utvecklas som behandling för en undergrupp av vuxna patienter med primära mitokondriella sjukdomar 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<sup>+</sup> och NADH, koenzym vilka är centrala för cellens energimetabolism. I en kohort av patienter med mitokondriella sjukdomar, 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 säriläkemedelsklassificering i både USA och Europa.

# Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538  
06 december 2022 09:00:00 CET - Lund



---

## Abliva - Delivering mitochondrial health

---

Abliva bedriver forskning och utvecklar läkemedel för behandling av 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 de essentiella koenzymen NAD<sup>+</sup> och NADH, har gått in i sen utvecklingsfas. NV354 är en energiersättningsbehandling där den prekliniska utvecklingen har slutförts. Abliva, med sin bas i Lund, är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: ABLI).

## Bifogade bilder

---

[FALCON Logo RGB](#)

## Bifogade filer

---

[Abliva inleder den globala FALCON-studien med huvudkandidaten KL1333](#)