

Abliva meddelar att 24 veckors dosering har slutförts i Steg 1 av FALCON-studien med KL1333 i primär mitokondriell sjukdom

-Med 24 veckors dosering klar kommer Abliva enligt plan att meddela resultatet från interimspanalysen i början av tredje kvartalet 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 att 24 veckors dosering har slutförts i Steg 1 av den pågående fas 2-studien FALCON med KL1333 för behandling av primär mitokondriell sjukdom. Dessa data kommer att granskas av den oberoende dataövervakningskommittén (DMC), och resultaten från interimspanalysen förväntas i början av tredje kvartalet 2024. Förutom att utvärdera säkerhetsdata från Steg 1 kommer DMC att ge en rekommendation om huruvida studien bör fortsätta samt ge råd om den slutliga studiestorleken.

"Vi är glada över att Steg 1-patienterna nu har doserats i minst 24 veckor, en viktig milstolpe som tar oss ett steg närmare att leverera det första läkemedlet för systemisk mitokondriell sjukdom och möta dessa patienters stora medicinska behov", säger Ellen Donnelly, VD för Abliva. "Vi är nu väl positionerade för att meddela resultatet från interimspanalysen efter granskning av DMC i början av tredje kvartalet 2024. Analysen kommer att ge en första bild av KL1333:s säkerhetsprofil vid dosering två gånger om dagen i 24 veckor samt avgöra om de primära effektmåten förväntas uppnå statistisk signifikans efter 48 veckors dosering. Vid interimspanalysen kommer det att göras en planerad ny uppskattning av studiestorleken för Steg 2, vilket vi tror kommer att optimera studiedesignen samt öka sannolikheten för framgång."

Om FALCON-studien

FALCON-studien är en global, randomiserad, placebokontrollerad, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie. I studien testas KL1333 i vuxna patienter med primär mitokondriell sjukdom orsakad av mutationer i det mitokondriella DNA:t som har kronisk trötthet och utmattning samt myopati. Effekten kommer att utvärderas med två alternativa primära effektmått, en skala som är specifik för svår trötthet och utmattning vid mitokondriell sjukdom och ett funktionellt test av myopati, 30 second Sit-to-Stand-testet. Studien är utformad så att resultatet vid studiens slutförande har potential att vara positivt både om endast ett eller båda av de primära effektmåten visar klinisk nytta. Alla patienter kommer ges KL1333 eller placebo två gånger om dagen i 48 veckor. Studien har en adaptiv design och kommer att genomföras i två steg med totalt 120 – 180 deltagande patienter.

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 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.

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

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](#).

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
30 maj 2024 12:40:00 CEST - Lund



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 att 24 veckors dosering har slutförts i Steg 1 av FALCON-studien med KL1333 i primär mitokondriell sjukdom](#)