



PledPharma

PRESSMEDDELANDE

PledPharma AB

PledPharma planerar att genomföra en fas II/III-studie med Aladote® inför ansökan om marknadsgodkännande i både USA och EU

Stockholm, 8 januari 2020. PledPharma AB ("PledPharma") (STO: PLED) meddelade idag att bolaget, efter interaktioner med US Food and Drug Administration (FDA) och European Medicines Agency (EMA), har fastställt utvecklingsprogrammet för Aladote®, en läkemedelskandidat avsedd att minska leverskador till följd av paracetamolförgiftning. Utvecklingsprogrammet består av en registreringsgrundade fas II/III-studie som bedöms vara tillräcklig för att kunna lämna in en ansökan om marknadsgodkännande i både USA och EU. Studien planeras att inledas under mitten av 2020.

Aladote är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att minska akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. Aladote har beviljats sär läkemedelsstatus i USA. En *proof of principle*-studie har framgångsrikt slutförts och visade att Aladote är säkert och tolerabelt, samt gav en indikation på att Aladote också kan minska leverskador.

Efter interaktioner med FDA och EMA har PledPharma fastställt utvecklingsprogrammet för Aladote bestående av en registreringsgrundande fas II/III-studie. Studien bedöms vara tillräcklig för att kunna lämna in en ansökan om marknadsgodkännande i både USA och EU. Den riktar sig mot patienter som kommer in sent till sjukhuset, mer än 8 timmar efter en överdos, och för vilken den befintliga standardbehandlingen N-acetylcystein (NAC) inte längre är effektiv. Studien kommer utföras i två steg med en interimsanalys som inkluderar en futilitetsanalys och dosval där den mest effektiva dosen kommer att fortsätta utvärderas.

"Vi är mycket nöjda med våra diskussioner med både FDA och EMA som har gjort det möjligt för oss att fastställa vår utvecklingsstrategi för Aladote. Parallellt med diskussionerna med de regulatoriska myndigheterna för att bestämma studieupplägg utvärderar vi också kontraktforskningsorganisation (*Contract Research Organization*, CRO) och arbetar med en genomförbarhetsstudie för att möjliggöra en snabb uppstart av den kliniska studien. Vi ser fram emot att kunna ge mer information om studien längre fram", säger Nicklas Westerholm, VD och koncernchef, PledPharma.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, Verkställande direktör
Tel. 073 354 20 62

nicklas.westerholm@pledpharma.se

Yilmaz Mahshid, Finansdirektör
Tel. 072 231 68 00

yilmaz.mahshid@pledpharma.se

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2020-01-08, 08:00 CET.

PledPharma i korthet

PledPharma är ett läkemedelsutvecklingsbolag med en unik och integrerad läkemedelsutvecklingskompetens som fokuserar på att förbättra behandlingen av allvarliga sjukdomstillstånd med stort medicinskt behov. **PledOx®** är en "first-in-class" läkemedelskandidat, avsedd för förebyggande av nervskador i samband med cellgiftsterapi. Ett globalt fas III-program pågår. **Aladote®** är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att minska akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. En *proof of principle*-studie har framgångsrikt slutförts och designen av nästkommande studie är under färdigställande. Aladote har beviljats sär läkemedelsstatus i USA. PledPharma har huvudkontor i Stockholm. Aktien är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista (STO:PLED), sedan 31 oktober 2019. För mer information, se www.pledpharma.se.



Om Aladote®

Aladote® är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att minska akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. Aladote® har i relevanta prekliniska studier visat god effekt även i det tidsfönster där behandling med N-acetylcystein (NAC) inte längre fungerar tillfredsställande (>8 timmar). En proof of principle studie i patienter med paracetamolförgiftning för att förebygga akuta leverskador har framgångsrikt slutförts. Studieresultaten visade att Aladote® är säkert och tolerabelt när det ges tillsammans med NAC. Resultaten indikerar också att Aladote® kan minska akuta leverskador i den aktuella patientpopulationen. Aladote® har beviljats sär läkemedelsstatus i USA.

Paracetamol är ett av det mest använda läkemedlet i världen vid behandling av feber och smärttillstånd, men samtidigt ett av de läkemedel som oftast överdoseras – avsiktligt eller oavsiktligt. Avsiktlig överdosering av paracetamol är en av de vanligaste metoderna vid självmordsförsök. När alltför stora mängder paracetamol bryts ner i levern, bildas den skadliga metaboliten NAPQI, som kan orsaka akut leverskada. Den befintliga behandlingen vid överdosering (NAC) är som effektivast om den ges inom åtta timmar efter intag av paracetamol. För patienter som anländer till sjukhus senare än så finns idag inget välfungerande behandlingsalternativ.