

Abliva når viktig milstolpe i den pågående 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 bolaget nu har nått målet för antalet inkluderade patienter som krävs för screening i Steg 1 av FALCON-studien. Studien fortgår således med planen att alla Steg 1-patienter ska ha påbörjat dosering i slutet av året och att interimspanalysen sker kring mitten av 2024.

Abliva genomför för närvarande FALCON-studien, en global, randomiserad, placebokontrollerad och potentiellt registreringsgrundande klinisk fas 2-studie som utvärderar effekten av KL1333 hos vuxna patienter med mitokondriell sjukdom som upplever svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet.

Målet för antalet patienter som krävs för screening i studiens Steg 1 har nu uppnåtts. Screenade patienter har utvärderats och kommer att fortsätta utvärderas för att få påbörja dosering i studien, och målet är att alla patienter som uppfyller studiekraven ska ha påbörjat dosering i slutet av 2023. I FALCON-studien utvärderas patienter som uppfyller de initiala kriterierna under en screeningperiod. Under denna period fastställs patienternas genetiska bakgrund samt utgångsläget för deras ihållande svåra trötthet och muskelsvaghet. De patienter som uppfyller kriterierna påbörjar dosering i slutet av sin screeningperiod.

"Det faktum att vi snabbt kunde identifiera 90 patienter med sällsynta sjukdomar för screening i denna studie, med intentionen att dosera minst 40, visar både på de kliniska centrumens engagemang och patienternas stora intresse för att delta i en studie som erbjuder ett läkemedel som skulle kunna adressera både deras svåra trötthet och deras myopati", säger Dag Nesse, VP Clinical Operations.

FALCON-studien har potential att generera registreringsgrundande data. Därför har studien en adaptiv studiedesign med en interimspanalys, vilken kommer att avgöra det slutgiltiga antalet patienter som ska rekryteras till hela studien (Steg 1 + Steg 2).

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
11 oktober 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 utvärderar bolaget 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 sjukdomsyttringar som mest påverkar det dagliga livet 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 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 krampor.

Pressmeddelande

Abliva AB (publ), 556595-6538
11 oktober 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 utmattnings 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 symptom på svår trötthet och utmattnings samt funktionella förbättringar. KL1333 utvärderas i en global, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie. (FALCON-studien) och har erhållit särklassificering i både USA och Europa samt Fast Track-status i USA.

Bifogade filer

[Abliva når viktig milstolpe i den pågående FALCON-studien](#)