



Nyhetsbrev

Juni 2021

Positiva säkerhetsdata och tecken på effekt

Vi på Abliva har haft en stark början på året med slutförandet av fas 1a/b-studien, läkemedelsinteraktionsstudien och den viktiga finansieringen. Dessa aktiviteter kommer att ligga till grund för de mer avgörande milstolpar som nu följer - från beslut om NV354 som klinisk kandidat, inlämnande av regulatorisk dokumentation för att stödja nästa KL1333-studie, till dosering i den första patienten i vår registreringsgrundande studie.

Vi är mycket glada över resultaten från fas 1a/b-studien och ser fram emot att presentera mer detaljer under United Mitochondrial Disease Foundation (UMDF)-mötet "Mitochondrial Medicine Symposium" i slutet av juni.

Dessutom välkomnade vi vår Clinical Project Manager Fia till teamet. Hon kommer att ha ett nära samarbete med Magnus, vår medicinska chef, och Matilda, vår chef för kliniska och regulatoriska frågor, för att driva nuvarande och framtida kliniska projekt framåt mot en välbehövlig behandling mot primära mitokondriella sjukdomar.

Vi har ett fortsatt spännande år framför oss och jag är tacksam för organisationen som är passionerat hängiven i detta arbete. Ha en härlig midsommar så hoppas jag att vi ses på riktigt till hösten.

Ellen Donnelly
CEO





“En klok mentor sa en gång till mig att ”bra läkemedel ger sig tillkänna tidigt” och jag hoppas att dessa data, hos åtta patienter över tio dagars dosering, är vårt första tecken på att KL1333 har egenskaperna att gå hela vägen till marknaden, till de patienter som desperat behöver behandlingar för sin sjukdom”

Ellen Donnelly

Publicerad av BioStock den 24 maj 2021.

Abliva om de positiva studieresultaten

Förra veckan kunde Abliva meddela positiva säkerhets- och farmakokinetiska data från sin fas Ia/b-studie med KL1333, samt signaler om effekt i relevanta kliniska effektmått hos patienter med primära mitokondriella sjukdomar. BioStock kontaktade bolagets vd Ellen Donnelly för en kommentar.

Den 16 mars meddelade det svenska bioteknikbolaget Abliva att den kliniska fas Ia/b-studien med KL1333, bolagets läkemedelskandidat för kronisk oral behandling av primära mitokondriella sjukdomar (PMD) har slutförts. Inga allvarliga biverkningar rapporterades och bolaget kommunicerade att studiedata skulle utvärderas under våren och försommaren. Förra veckan offentliggjordes det slutliga resultatet av dataanalysen.

Positiva fas Ia/b resultat

Det primära syftet med den dubbelblindade, randomiserade, placebokontrollerade fas Ia/b-studien var att utvärdera säkerheten och farmakokinetiken för KL1333, både hos friska frivilliga och hos patienter.

Data från studien bekräftar data för ökande engångsdoser från en tidigare fas I-studie och visar för första gången data för multipla ökande doser från friska frivilliga samt upprepade dagliga dosering i patienter. Studien inkluderade en analys av kostens inverkan och uppdelad dosering av KL1333 hos friska frivilliga samt en fullständig sammanfattning av farmakokinetiska parametrar hos både friska frivilliga och patienter med primära mitokondriella sjukdomar.

Vd kommenterar

BioStock kontaktade Ablivas vd Ellen Donnelly för en kommentar kring studieresultaten, dess betydelse för den fortsatta utvecklingen samt hennes framtidsvisioner för kandidaten.

Först och främst, Ellen - gratulerar till studieresultaten. Studien genomfördes i samarbete med neurologer vid University College London och Welcome Trust Centre for Mitochondrial Research vid Newcastle University. Vilka var forskargruppens reaktioner på studieresultaten, med tanke på att det för närvarande inte finns några behandlingar riktade mot primära mitokondriella sjukdomar?

– Vi pratade med forskarna i veckan och de var naturligtvis mycket glada över att studien uppfyllde sina primära mål, att visa säkerhet och karakterisera den farmakokinetiska profilen hos patienter med primär mitokondriell sjukdom. Med dessa resultat på plats kan KL1333 gå vidare i den kliniska utvecklingen – mot regulatoriskt godkännande av en innovativ behandlingsmöjlighet för patienter som för närvarande saknar beprövade effektiva och sjukdomsspecifika behandlingar. Forskarna, liksom vi, är medvetna om begränsningarna när det gäller att dra fasta slutsatser från en så liten och kort studie, men de positiva förändringar som ses i sjukdomsrelevanta utfallsmått ger viktiga data för oss när vi slutför fas 2/3-studiens design och är naturligtvis uppmuntrande för programmets övergripande mål.

Trots att studien inte främst var utformad för att utvärdera effekten och doseringstiden bara var 10 dagar, kunde ni ändå se lovande tecken i studiedelen med PMD-patienter. Kan du kort gå igenom de resultat som ni såg hos PMD-patienterna?

– Vi såg några spännande tidiga tecken på effekt hos PMD-patienterna i vår studie. För det första presterade de patienter som doserats med KL1333 bättre än placebo-patienter när vi tittade på två oberoende skalor för svår trötthet och utmattningsgrad och en funktionell skala som kallas 30 Second Sit-to-Stand. Dessutom presterade de patienter som hade den högsta exponeringen av läkemedel i blodet bäst på de kliniska effektmått. Alla dessa data kommer att beaktas när vi slutför vår kliniska design för fas 2/3-studien.

Stärker resultatet Abliva framåt då ni nu förbereder er för fas II/III-studien?

– Absolut. Denna studie gav oss viktig information om säkerhet, effekt och dosering av KL1333 och denna information stärker vårt program när vi går mot inlämning av regulatorisk dokumentation samt studiestart senare i år. En klok mentor sa en gång till mig att ”bra läkemedel ger sig tillkänna tidigt” och jag hoppas att dessa data, hos åtta patienter över tio dagars dosering, är vårt första tecken på att KL1333 har egenskaperna att gå hela vägen till marknaden, till de patienter som desperat behöver behandlingar för sin sjukdom.

Dessutom har en andra farmakologisk studie som utvärderar interaktionen mellan KL1333 och sju enzymer (CYPs) som metaboliserar andra läkemedel just slutförts. Vad har ni lärt er av den här studien?

– Studien var en omfattande läkemedelsinteraktionsstudie med sju av de viktigaste läkemedelsmetaboliserande enzymer i kroppen. Varje stark hämning av funktionen hos dessa enzymer kan utgöra problem då man kombinerar KL1333 med andra läkemedel vilket i sin tur begränsar vilka patienter som kan ingå i kommande kliniska prövningar. Även om det inte finns något beprövat ”sjukdomsspecifikt” läkemedel som är godkänt för multisystemisk PMD, står dessa patienter ofta på flera symptomatiska läkemedelsbehandlingar, så starka interaktioner skulle ha utgjort ett problem. Studieresultaten visar endast en mild hämning av en av de mindre vanliga CYPs, CYP1A2, så vi är mycket glada över att där inte fanns några oroande interaktioner.

Slutligen, vad återstår att göra innan ni kan lämna in en IND-ansökan senare i år, och när räknar du med att fas II/III-studien kan initieras?

– Vi har en hektisk period framför oss då vi kommer att arbeta med att förbereda datan för inlämning av IND-ansökan. Först kommer vi att använda data från fas 1a/b-studien (population, dosering, effektmått etc.) för att testa våra tidiga antaganden om studiens utformning samt slutföra vårt kliniska protokoll. Samtidigt arbetar vi med att slutföra de kliniska studierapporterna för fas 1a/b-studien och DDI-studien och vi jobbar dessutom med att köra valideringsstudien av effektmått för trötthet och utmattningsgrad. Teamet har dock redan inlett processen med att skriva IND-ansökan, så vi hoppas att allt är förbättrat så att den kan skickas in så snart vi har alla stöddata. Vi planerar fortfarande för att IND-ansökan ska lämnas in och fas 2/3-studien ska inledas under andra halvåret i år, men jag är först med att erkänna att det kommer bli en hektisk tid och allt måste fortgå som planerat för att vi ska kunna uppnå dessa ambitiösa mål!

A portrait of Fia Ence, a woman with long blonde hair, smiling. She is wearing a patterned top. The background is a blurred outdoor setting with greenery and a building.

Ny på jobbet

Intervju med Fia Ence

I början av maj 2021 var Abliva glada över att välkomna Fia Ence till teamet i Lund. Fia tillträdde den nya tjänsten som Clinical Project Manager under en händelserik vår, bara några veckor före bolagets rapportering av positiva data från fas 1a/b-studien med KL1333. Vi passade på att få en liten pratstund.

Hej Fia! Och välkommen till Abliva. Du har varit på företaget i en månad nu. Vad har du hittills för intryck av jobbet och vad exakt gör en Clinical Project Manager?

-Mitt intryck är att jag har börjat på ett företag fullt av engagemang för att utveckla välbehövliga behandlingar till en patientgrupp som har små eller inga behandlingsalternativ alls. Jag tror att rollen som projektledare kommer att vara händelserik, givande och rolig. Som projektledare kommer jag att hantera och övervaka studiernas framfart avseende tid, kvalitet, risk och kostnad. Jag kommer att samordna skapandet och upprätthållandet av kliniska utvecklingsplaner samt välja ut, och säkerställa tillsyn och samarbete, med leverantörer.

Om vi går över till din bakgrund – kan du berätta lite om vad du har gjort innan du började på Abliva?

-Jag har en master i biomedicin där jag fokuserade på klinisk läkemedelsutveckling. Efter avslutade studier började jag arbeta inom kliniska prövningar och har gjort det under de senaste sju åren. Senast arbetade jag som Clinical Research Associate, vilken fungerar som den primära kontakten mellan de kliniska studiecentrumen och de som leder studien. Jag har arbetat inom flera områden inklusive hjärt-kärlsjukdom, leversjukdom, endokrina system och metabola störningar. Jag har mestadels varit anställd vid olika Clinical Research Organizations (CRO), vilket jag tror kan vara till hjälp i min roll här på Abliva eftersom samarbeten med CRO:s kommer att vara ett av mina ansvarsområden.

Vad var det som lockade dig till Abliva och tjänsten?

-Jag har varit intresserad av projektledning ett tag och det som lockade mig specifikt till Abliva är deras intressanta portfölj samt det viktiga arbetet med att hitta

behandlingar för en grupp patienter som för närvarande inte har tillgängliga behandlingsalternativ. Det känns fantastiskt att vara en del av ett företag som arbetar så hårt för att försöka utveckla en behandling för dessa patienter, och som dessutom tar hänsyn till de symptom som patienterna själva tycker är mest besvärande, vid genomförandet av den kommande studien. Jag ser verkligen fram emot att ha kontakt med den här patientgruppen i vårt sökande efter en framgångsrik behandling.

Vad tror du kommer att vara dina största utmaningar som Ablivas Clinical Project Manager under de kommande tolv månaderna?

-I den kommande studien tror jag att en utmaning kommer att vara att balansera antalet studieundersökningar med ett patientvänligt tillvägagångssätt, eftersom dessa patienter vanligtvis lider av väldigt svår trötthet och utmattning.

Namn: Fia Ence

Titel: Clinical Project Manager

Drömresan skulle gå till: Inkaleden och Machu Picchu

Gör helst efter jobbet: Spenderar tid med familj och vänner

Äter helst: Jordgubbar

Dricker helst på fest: Margarita

I bokhyllan: Allt från *Stolthet och fördom* till *Sapiens: A Brief History of Humankind*

På tv: Grey's Anatomy



Abliva tar in 80 MSEK genom en riktad emission

(Modifierad från BioStock, publicerad den 6 april 2021.)

I mars annonserade Abliva att man genomfört en riktad aktieemission som senare godkändes på bolagets extrastämma den 29 april. De mer än 100 miljoner aktierna emitterades till ett flertal kvalificerade svenska och internationella investerare, inklusive Hadean Ventures*. Till teckningskursen 0,75 kr per aktie tog Abliva in totalt 80 MSEK före kostnader i två trancher och nettolikviden kommer att användas till fortsatt avancemang av bolagets kliniska tillgångar, främst KL1333. Ellen Donnelly, vd, kommenterade.

Varför var det viktigt att fokusera på denna riktade nyemission nu?

– Den feedback Abliva fick från FDA i september förra året förändrade spelplanen på ett mycket positivt sätt eftersom FDA uppmuntrade oss att genomföra en *enda* studie som kan möjliggöra godkännande av KL1333. Denna rekommendation var enormt viktig för bolaget och kommer att göra det möjligt för oss att ta KL1333 till marknaden cirka 2-3 år tidigare än vi skulle ha gjort med vår föreslagna design, med sekventiella fas 2- följt av fas 3-studier.

– Vår fas 2/3-studie är planerad att starta under andra halvåret i år, så vi arbetar nu hårt för att minimera riskerna i utvecklingsprogrammet för att säkerställa att KL1333 har så stor chans att lyckas som möjligt. Förberedelserna inför registreringsstudien innebär ett noggrant arbete och den riktade emissionen ger oss medel för att bygga den evidens som krävs för att ytterligare stärka vår fas 2/3-studie – allt från att utläsa resultaten från pågående studier, bekräfta vår fas 2/3-studiedesign, till att validera vårt primära effektmått samt bygga vårt kliniska nätverk.

Kan ni säga något om de deltagande investerarna i denna finansieringsrunda?

– Alla deltagande investerare är kvalificerade investerare, både svenska och internationella. Gruppen är uppdelad mellan nuvarande aktieägare och nya aktieägare. Vår största aktieägare, Hadean Ventures, deltog i rundan med ett betydande bidrag, en signal om det förtroende de har för vårt program.

Vad händer närmast för dig som VD för Abliva?

– Jag är naturligtvis oerhört glad över de positiva resultaten från vår fas 1a/b-studie och DDI-studien (drug-drug interaction). Resultaten från dessa studier kommer att ligga till grund för den slutliga utformningen av vårt kliniska protokoll. Den slutliga studiedesignen samt utvecklings- och kommersialiseringstrategin för KL1333 kommer att vara viktig när vi pratar och informerar om Abliva i Sverige, Europa och USA. Som VD lovar jag att vara transparent när det gäller styrkorna och möjligheterna i våra program och kommer på ett korrekt sätt att sätta förväntningar på vad som väntar för bolaget under detta avgörande år för Abliva.

*Hadean Ventures - Investing in the Future of Healthcare

Hadean Ventures är en europeisk life science-fondförvaltare som investerar i life science-bolag över hela Europa med särskilt fokus på Norden. Hadean Ventures förvaltar fonder med stöd av ledande europeiska och USA-baserade privata och institutionella investerare. Hadean Ventures har kontor i Oslo och Stockholm och samarbetar med akademiska institutioner i världsklass och start-up-hubbar över hela regionen.



Abliva i (den virtuella) världen

Att kommunicera vår mission, vår strategi och våra data utåt (till patienter, läkare, investerare) är avgörande då vi arbetar för att bygga det främsta företaget inom mitokondriell medicin. Primär mitokondriell sjukdom är ett område som är okänt för många, så vi strävar efter att utbilda och informera eftersom vi jobbar mot att utveckla läkemedel för att behandla dessa patienter. Det bästa sättet att göra detta på är att träffa er alla på riktigt, men COVID-19-pandemin har gjort att vi måste träffas online. Våra senaste event har bland annat varit:

European Biotech Investor Days 2021

7 – 8 april 2021.

<https://troutaccess.com/investor.php/c/EUBiotechInvestorDays2021>

Redeye Orphan Drugs

28 april 2021.

<https://www.redeye.se/video/event-presentation/810274/abliva-ceoellen-donnelly-presents-at-redeye-orphan-seminar-2021?embed>

Redeye Investor Forum Online

20 maj 2021.

<https://www.redeye.se/video/event-presentation/812654/abliva-ceo-ellen-donnelly-presents-at-redeye-investor-forum-may-20th?embed>

UMDF Mitochondrial Medicine Symposium

Den amerikanska patientorganisationen United Mitochondrial Disease Foundation (UMDF) arrangerar sitt årliga Mitochondrial Medicine Symposium, i år virtuellt, i juni. Abliva kommer att delta i de vetenskapliga delarna av symposiet:

- Magnus Hansson, medicinsk chef, kommer att utgöra en av pandedeltagarna fredagen den 25 juni klockan 13.50 EST, i Clinical Trials Panel #2 Discussion, tillsammans med representanter från Baylor College of Medicine, Cyclarion Therapeutics och Khondrion.
- Data från Ablivas fas 1a/b-studie med KL1333 kommer att presenteras på en vetenskaplig e-Poster, tillgänglig för registrerade deltagare under hela evenemanget.

Läs de senaste bolagsanalyserna av Abliva, t ex:

- KL1333 ready for pivotal Phase II/III trial, från Edison.
- Lovande första data på patienter, från Analysguiden.

Klicka här