ABLIVA Delivering mitochondrial health

Nyhetsbrev

Oktober 2021

Två projekt i klinisk utveckling nästa år

Den senaste månaden har varit mycket spännande eftersom NV354, en substans utvecklad av vår egen forskargrupp, har fått positiv feedback från den brittiska läkemedlesmyndigheten och kommer att gå vidare till klinisk utveckling nästa år. Detta betyder att NV354 tillsammans med KL1333 kommer att ingå i vår kliniska pipeline. Genom utvecklingen av dessa två program är vi glada över att kunna välkomna två kliniska experter till vårt team, Dr. Sam Lindgren och Dr. Joy Chukwujindu.

Vi fortsätter att planera förberedelserna inför vår kommande fas 2/3-studie med KL1333 i mito-patienter; se Fias intervju för mer information.

Under World Mitochondrial Disease Week arbetade vi för att öka medvetenheten om mitokondriella sjukdomar. Vi lyfte fram ett antal av våra egna program i de filmer som vi publicerade dagligen och jag uppmuntrar er att kika på dem på abliva.com.

Dessutom fick jag i veckan äntligen tillfälle att träffa er i verkligheten under fyra intensiva dagar i Stockholm och Lund. Jag uppskattade verkligen våra diskussioner och jag vill tacka för era uppriktiga frågor och feedback. Vi kommer att hålla fler evenemang i framtiden så håll utkik efter dessa framöver.

Följ med på en spännande resa framåt!

Ellen Donnelly
VD

"...jag får vara en del av ett fantastiskt och kreativt team, fokuserade på att utveckla nya mediciner för att kunna förbättra livet för patienter med mitokondriell sjukdom."

Intervju

Fia Ence om KL1333:s väg framåt

Ablivas läkemedelskandidat KL1333 har avancerat snabbt under det senaste halvåret. Förberedande aktiviteter inför den kommande registreringsgrundande fas 2/3-studien i patienter med mitokondriella sjukdomar pågår för fullt. Ablivas projektledare inom klinisk utveckling, Fia Ence, har koll på läget.

Hej Fia! Du ingår i det kliniska utvecklingsteamet på Abliva. Vilken är din specifika roll?
-Inom det kliniska utvecklingsteamet ansvarar jag för klinisk verksamhet – det innebär att jag har ett nära samarbete med Abliva-teamet för att utforma och möjliggöra den kliniska studie som vi kommer att genomföra med KL1333 i patienter med primära mitokondriella sjukdomar. Jag är också kontaktperson för kontraktssamarbetspartnern, kallad CRO, som hjälper oss att driva studien. Jag gillar verkligen mitt jobb eftersom jag får vara en del av ett fantastiskt och kreativt team, fokuserade på att utveckla nya mediciner för att kunna förbättra livet för patienter med mitokondriell sjukdom.

Ablivas huvudkandidat KL1333 har visat gynnsamma läkemedelsegenskaper i flera tidigare studier och har nyligen visat på klinisk effekt i en kohort av patienter. Hur kommer ni att använda er av dessa resultat framåt?
-Dessa studier är alla av avgörande betydelse eftersom de minskar risken i vårt program då vi slutför utformningen av vår kommande studie. För det första har vi nu doserat i över 110 patienter och friska frivilliga med vår substans, så vi är väl införstådda med säkerhetsprofilen. De senaste resultaten från vår studie i patienter med mitokondriell sjukdom bidrog till att bekräfta vilka patienter som är lämpligast att inkludera i studien och gav oss viktig information om rätt dos i den kommande studien. Slutligen motiverade de starka data, om både utvärderingsmåtten för svår trötthet och utmattning samt för det funktionella effektmåttet, oss att lägga till ytterligare ett primärt effektmått i studien. Detta är verkligen goda nyheter eftersom vi nu har två "skott på mål" för en framgångsrik studie.

Vilka förberedande aktiviteter inför den kommande fas 2/3-studien pågår och hur långt har ni kommit?
-Som ni förmodligen kan föreställa er är det mycket arbete med att starta en global registreringsgrundande studie som kommer att kräva sekventiella aktiviteter under många månader. För det första valde vi en CRO tidigare i år. Det är viktigt för oss att samarbeta med en CRO som förstår området sällsynta sjukdomar och som kan alla kvalitetsstandarder. Vi arbetar nu med en CRO för att möjliggöra studien och för att sätta upp alla logistikdelar. Vi fortsätter också våra diskussioner med tillsynsmyndigheter för att säkerställa att vi genomför en väl utformad studie - ett aktuellt exempel var vårt möte efter fas 1-studien (End Of Phase 1 - EOP1) med amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA tidigare i somras.

Om man tittar på de närmaste månaderna, vad kommer du och teamet att fokusera på i KL1333-programmet?
-Vi håller på att välja ut de kliniska centra som ska delta i studien. När vi väl har valt ut våra centra kommer vi påbörja arbetet med att starta upp dem samt att ansöka om regulatoriskt godkännande i varje land. Parallellt med detta kommer vi att börja förbereda våra leverantörer så att de är redo. Till exempel kommer vi att packa och distribuera läkemedelsprodukten, inrätta en studiedatabas, förbereda allt utbildningsmaterial samt många andra saker som tillsammans möjliggör starten av patientinkludering under nästa år.

"...behandlingen har potential att ändra sjukdomsförloppet och göra skillnad i många patienters liv. "

Intervju

Alvar Grönberg ser stor potential i NV354

NV354, en substans som kommer från Ablivas egen forskning, fick nyligen positiv feedback från de brittiska tillsynsmyndigheterna. Det innebär att den kommer att gå vidare till klinisk utveckling nästa år och således ingå tillsammans med KL1333 i bolagets kliniska pipeline. Alvar Grönberg, Ablivas chef för preklinisk utveckling, ser stor potential i projektet.

Hej Alvar! Du har en imponerande bakgrund inom läkemedelsutveckling, med fokus på icke-kliniskt arbete. Vilka är dina huvudsakliga arbetsuppgifter på Abliva?
-På Abliva övervakar jag planering och utförande av de prekliniska experiment som både stödjer våra tillgångar i sen fas och hjälper oss att ta fram nya läkemedelskandidater till portföljen. Det är viktigt eftersom det är det prekliniska datapaketet som visar för tillsynsmyndigheterna att våra läkemedel har den profil som krävs (är säkra och har potential att vara verkningsfulla) för att få prövas på friska frivilliga och därefter på patienter. För mig är det prekliniska området väldigt givande, eftersom det är stimulerande och spännande både vetenskapligt och intellektuellt. De studier som vi behöver utföra omfattar ett mycket brett spektrum av ämnesområden, från kemi till avancerad biologi, och ger upphov till helt nya data.

För bara några veckor sedan offentliggjorde Abliva att ett andra program, NV354, ska gå vidare till klinisk utveckling. Vilken är den främsta orsaken till beslutet?
-När det prekliniska programmet hade slutförts bad vi om ett möte med den brittiska tillsynsmyndigheten MHRA för att diskutera de viktigaste aspekterna av programmet. Våra diskussioner avlöpte väl och därför ska NV354 tas vidare till klinisk fas under 2022.

Vilka ytterligare aktiviteter krävs innan ni kan inleda en klinisk fas 1-studie, er första studie i människa, med detta program?
-Vi har slutfört de centrala aktiviteterna som krävs för att stödja den kliniska utvecklingen, och fortsätter nu att bygga upp och stärka det prekliniska paketet på sikt. Just nu ligger emellertid vårt fokus på att tillverka kliniskt prövningsmaterial och att sätta ihop en ansökan om klinisk prövning som ska lämnas in till tillsynsmyndigheterna. När det dokumentet väl är godkänt kan vi påbörja dosering med NV354 i vår första friska frivilliga försöksperson.

NV354 är resultatet av forskning som har bedrivits på Abliva. Om läkemedelskandidaten når marknaden, hur kommer det förhoppningsvis att förändra livet för patienter med mitokondriella sjukdomar?
-NV354 är utformad att kompensera för en viss typ av mitokondriell dysfunktion som är vanligt förekommande i den primära patientmålgruppen. NV354 har egenskaper som tillåter bekväm oral dosering och effektiv administrering av den aktiva substansen till alla organ i kroppen, inklusive det drabbade nervsystemet. Det innebär att behandlingen har potential att ändra sjukdomsförloppet och göra skillnad i många patienters liv.

Vi har också förhoppningar när det gäller möjligheterna att utvidga användningen av NV354 till fler områden inom mitokondriell medicin och andra indikationer.

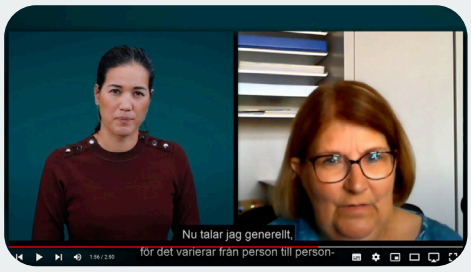
Verkningssättet och egenskaperna hos NV354 kompletterar dem hos KL1333, som är vår andra läkemedelskandidat som redan är i klinisk utveckling. Tillsammans har de här läkemedlen potential att ge behandlingsalternativ till patienter som för närvarande inte har någonting.

World Mitochondrial Disease Week 2021

World Mitochondrial Disease Week är ett initiativ från International Mito Patients (IMP) för är att öka medvetenheten om mitokondriell sjukdom på global nivå genom utbildnings-, insamlings- och påverkansaktiviteter. I år deltog Abliva genom att publicera filmer med fokus på att öka förståelsen i samhället för utvecklingen inom sällsynta sjukdomar samt för utvecklingen av nya läkemedelsbehandlingar för primära mitokondriella sjukdomar. Klicka nedan för att titta.

Dag 1: Mitokondriell (Mito-) sjukdom

Dag 2: Designa läkemedels-kandidater för mitokondriell sjukdom, samt Ablivas NV354



Dag 3: Att leva med mitokondriell sjukdom

Dag 4: Läkemedelsutveckling inom mitokondriell sjukdom, samt Ablivas KL1333

Dag 5: Ablivas kommande fas 2/3-studie med KL1333

Dag 6: Utveckling av läkemedel för sällsynta sjukdomar – Särläkemedel

Dag 7: Fatigue vid primära mitokondriella sjukdomar: Förståelse för patientens upplevelse

Läs mer: https://abliva.com/sv/posts/events-and-presentations/world-mitochondrial-disease-week-2021/

Nya samarbeten

Förstärkning i det kliniska utvecklingsteamet

Abliva har haft turen att kunna räkna in ett antal experter inom läkemedelsutveckling i teamet. De stödjer projektportföljen inom specialiserade områden såsom regulatoriska frågor, statistik, tillverkning, säkerhet och en mängd andra områden. Bolaget har nyligen stärkt sitt team med två kliniska experter, Dr. Sam Lindgren och Dr. Joy Chukwujindu.

Joy Chukwujindu är legitimerad läkare i Storbritannien med specialistregistrering inom läkemedelsmedicin. Hon har arbetat på flera stora och medelstora läkemedelsföretag och kontraktsorganisationer (CRO:s) i mer än 25 år och har lång erfarenhet inom alla delar av global säkerhetsövervakning (s.k. pharmacovigilance) i alla läkemedelsutvecklingsfaser och efter marknadsföring. Joy är också kunnig inom säkerhetsövervakning i realtid av data från kliniska prövningar. Joy kommer att kommer att hjälpa till med säkerhetsarbetet för fas 2/3-studien med KL1333.

Sam Lindgren är legitimerad läkare och filosofie doktor, med en masterexamen i Business Administration (MBA), som utbildade sig till kardiolog vid Lunds universitetssjukhus. Han tillför mer än 25 års erfarenhet av klinisk läkemedelsutveckling, translationell medicin, säkerhetsövervakning (pharmacovigilance), strategiutveckling och ledande roller från AstraZeneca, Novartis, Lundbeck och Novo Nordisk. Sam kommer att arbeta med den kliniska utvecklingen av både NV354- och KL1333-programmen.

Fireside chat i Stockholm och Lund

I slutet av september arrangerade Abliva två informella möten, ”fireside chats”, med bolagets VD Ellen Donnelly. Ellen, som är amerikan och bor i Boston, fick möjlighet att träffa kollegor, aktieägare och andra som är intresserade av bolaget för första gången efter att ha tagit över som VD.

Kommande event

7 - 8 okt

Biotech in Europe Forum

20 - 21 okt

BioStock Life Science Summit

Se tidigare presentationer här: https://abliva.com/sv/poster/presentationer/