ABLIVA Delivering mitochondrial health

Nyhetsbrev

September 2022

"Vi har laddat batterierna inför en fulladdad period framöver".

Spännande tider väntar

Hej! Jag hoppas att ni alla haft en härlig sommar och tidig höst. Vi har laddat batterierna inför en fulladdad period framöver, med förberedelserna inför starten av fas 2/3-studien FALCON i patienter med primära mitokondriella sjukdomar behandlade med KL1333.

Den årliga World Mitochondrial Disease Week pågick den 18–24 september med syftet att sprida kunskap bland sjukvårdspersonal, beslutsfattare, industrin och allmänheten om mitokondriella sjukdomar. Vi deltog även i år med att publicera filmer på vår hemsida med fokus på patienterna och på vår projektportfölj (se alla filmer här: https://abliva.com/sv/poster/presentationer/world-mitochondrial-disease-week-2022/). I detta nyhetsbrev får vi höra mer om FALCON-studien från vår projektledare inom klinisk utveckling, Fia Ence. Vi får också höra direkt från en patient, Daniela Gallo Castro, som lider av Kearns-Sayres syndrom.

Abliva har deltagit vid flertalet både kliniskt, vetenskapligt och finansiellt inriktade möten med målet att synliggöra forskningsområdet och vår strävan efter att kunna behandla patienter med mitokondriell sjukdom. Hösten kommer att bjuda på ytterligare tillfällen att sprida vårt budskap. Vi ser fram emot att träffa er vid kommande event!

Vänliga hälsningar

Ellen Donnelly
VD

“Vi kommer att utvärdera effekterna av KL1333 på patienternas fatigue och muskelsvaghet i hopp om att förbättra dessa symtom”.

Intervju

Fia Ence – Ablivas projektledare klinisk utveckling

I år ser Abliva fram emot starten av fas 2/3-studien med KL1333, FALCON-studien. Studien kommer att inkludera vuxna patienter med systemisk primär mitokondriell sjukdom som lider av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet. Här berättar vår Projektledare klinisk utveckling, Fia Ence, mer om denna viktiga studie och hur det kommer att vara för patienter som deltar i studien.

Ni kommer snart att starta en klinisk studie för att utvärdera effekten av KL1333. Kan du berätta lite mer om studien?
–Vi kommer att rekrytera vuxna patienter som lider av extrem trötthet (fatigue) och muskelsvaghet, bredvid andra symtom, och som har en genetiskt bekräftad mutation i det mitokondriella DNA:t. Vi kommer att utvärdera effekterna av KL1333 på patienternas fatigue och muskelsvaghet i hopp om att förbättra dessa symtom. Patienter som deltar i studien kommer att ta ett piller av KL1333 eller placebo två gånger per dag i ungefär ett år. Studien är dubbelblindad, vilket innebär att varken vi, läkaren eller patienten vet om de får placebo eller det aktiva studieläkemedlet. Detta är viktigt för att kunna utvärdera de faktiska effekterna av KL1333 utan någon partiskhet. Studien kommer att pågå i USA och i en handfull europeiska länder.

Patienterna i studien kommer bland annat att lida av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet, vilket gör det lite svårt för dem att delta i en klinisk prövning. Hur ska ni underlätta deras deltagande i studien?
–Vi har minskat antalet besök på studiecentrumet och sett till att de flesta bedömningar även kan göras i patientens hem, vilket innebär att vi kommer att erbjuda hemsjuksköterskor som kommer hem till patienten vid tre av de åtta besöken. Totalt blir det fem besök på studiecentrumet under de 64 veckor som studien pågår. Vi har också utvecklat en app, i vilken patienter kan svara på enkäterna, vilket de kommer att göra inför sina besök. Detta för att minska belastningen den dagen de är på studiecentrumet. Utöver det arbetar vi också med en reseförmedlare som kommer att vara tillgänglig för att tillhandahålla resor till och från studiecentrumen.

Innan ni kan börja rekrytera patienter, vilka ytterligare aktiviteter behöver utföras?
–För närvarande arbetar vi med detaljerade förberedelser för att säkerställa att vi kommer att ta tillvara högkvalitativa data under studien. Vi skickar in ansökningar till etikkommittéerna, slutför diskussioner med tillsynsmyndigheter, vi upprättar datasystem för datainsamling och vi utbildar studiepersonal och hemsjuksköterskor i vårt protokoll och de olika bedömningarna. Detta för att se till att, när rekryteringen väl startar, kommer allt att fungera smidigt.

FALCON

“Han (läkaren) frågade hur länge jag inte hade haft några ögonrörelser. Jag hade absolut ingen aning om vad han pratade om”.

Intervju

Daniela lider av en primär mitokondriell sjukdom

Patienterna står i centrum för allt vi gör. Vi träffar dem ofta för att förstå deras sjukdom och deras symtom, så att vi bättre kan utforma våra läkemedelsbehandlingar. Möt Daniela Gallo Castro, fil.dr, klinisk prövningskoordinator och patient med mitokondriell sjukdom.

Kan du kort presentera dig och berätta lite om din koppling till primär mitokondriell sjukdom (”mito”)?
–Jag heter Daniela och är 36 år. Jag bor i Schweiz men jag är uruguayan och italienare - jag har bott i båda länder. Jag har en mitokondriell sjukdom som kallas Kearns-Sayres syndrom.

När fick du veta att du har en mitokondriell sjukdom och hur upptäcktes den?
–Jag fick veta att jag hade en mitokondriell sjukdom när jag var 31 år, så för nästan fem år sedan. Det var bara av en slump. Jag hade lite problem med ögonen, en infektion eller liknande, och jag gick till ögonsjukhuset som vi har här. Mot slutet av besöket bad läkaren mig att göra testet där man följer fingret med ögonen. Och jag kunde ana att det var något fel, för han fortsatte att be mig titta på hans finger. Jag tänkte att: Jag TITTAR på fingret. Han sa till mig att jag inte hade några ögonrörelser och frågade hur länge jag inte hade haft ögonrörelser. Jag hade absolut ingen aning om vad han pratade om.

Min sjukdom diagnostiserades vid 31, men jag började få symtom när jag var 12 år. Jag hade ett hängande ögonlock, men ingen hade någon förklaring till det. Efter att läkaren såg att jag inte hade några ögonrörelser skickade han mig till en annan ögonläkare som var mycket mer av en expert inom sällsynta tillstånd. Hon var fantastisk, för omedelbart efter att bara ha tittat på mina ögon och gjort lite kontroller, sa hon ”Jag tror verkligen att du har en mitokondriell sjukdom. Och vi kommer att behöva göra fler kontroller för det”. Jag gick till en neurolog och jag träffade en annan ögonläkare på sjukhuset också, jag träffade en expert på mitokondriella sjukdomar och en genetiker. Och slutligen gjorde de en muskelbiopsi som visade de s k ragged-red fibers, vilket är en tydlig indikation på mitokondriell sjukdom. Sedan gjorde de DNA-testet och det visade att jag saknar en sekvens i mitt mitokondriella DNA. Så då blev det bekräftat.

Hur påverkar sjukdomen din vardag, och vilka sjukdomsuttryck är mest hindrande för dig?
–Jag lever med kronisk trötthet och utmattning, och det är något väldigt närvarande i mitt liv. Jag behöver nästan en tupplur dagligen bara för att kunna fungera. Förutom det, har jag många ögonsymtom, allmän muskelsvaghet, särskilt i benen, i armarna och nacken. Men jag har lärt mig att känna av mina energier och anstränga mig därefter.

Hur har stödet från vården varit för dig?
–Nu har jag ett stort antal specialister, och de pratar hela tiden med varandra och kontaktar varandra. Även för besvär som inte är relaterade till mito, går de och frågar min mito-specialist först för att se om den ena eller den andra behandlingen kan fungera eller inte. Så jag känner mig väldigt privilegierad, för sjukvården hjälper mig verkligen mycket.

World Mitochondrial Disease Week 2022, 18 – 24 sep

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. Abliva deltog 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 mitokondriella sjukdomar, samt Ablivas KL1333

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

Dag 6: Patienterna i fokus vid läkemedelsutveckling

Dag 7: Mitokondriell sjukdom hos barn - Möt Adrian, far till Rebecca

Läs mer: https://abliva.com/sv/poster/presentationer/world-mitochondrial-disease-week-2022/

Abliva i världen

Att kommunicera vår mission, vår strategi och våra data utåt (till patienter, läkare, forskare, 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 allt eftersom vi jobbar mot att utveckla läkemedel för att behandla dessa patienter. Våra senaste event har bland annat varit:

Bioblast 2022, Innsbruck, Österrike
29 - 30 juni 2022. Presentationen tillgänglig här:
https://youtu.be/2--Bt1T7Zu0

Aktiespararna Digitalt, Life Science
31 augusti 2022. Presentationen tillgänglig här:
https://youtu.be/iHgYjMfQoK8

mitoNICE, Nice, Frankrike
15 - 17 september 2022.

Aktiespararnas Aktiedagen Lund
26 september 2022. Presentationen tillgänglig här:
https://youtu.be/ajZ9_40hK-s

Nordic Life Science Days 2022, Malmö
28 - 29 september 2022.

Kommande evenemang

8 - 9 okt
Mitocon - Italian Meeting on Mitochondrial Diseases
Rom, Italien

14 nov
LSX Inv€$tival Showcase
London, Storbtitannien

21 - 23 nov
Mitochondrial Medicine
Cambridge, Storbtitannien

www.abliva.com