ABLIVA Delivering mitochondrial health

Nyhetsbrev

December 2022

"I FALCON-studien kommer vi att utvärdera effekterna av KL1333 i patienter som har primära mitokondriella sjukdomar och lider av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet".

FALCON-studien har inlett sin resa

Efter en omfattande uppstartsperiod gladde vi oss över att den 5 december kunna meddela starten av vår fas 2-studie, FALCON-studien, med vår huvudkandidat KL1333. I denna studie kommer vi att utvärdera effekterna av KL1333 i patienter som har primära mitokondriella sjukdomar och lider av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet. Det finns för närvarande inga godkända läkemedel för dessa patienter så vi hoppas att patienter kommer att anmäla sig till vår studie och hjälpa oss att avgöra om KL1333 ger dem mer energi och hjälper deras muskler att fungera bättre.

Vi såg de första tecknen på dessa effekter i en fas 1b-studie i patienter förra året, där patienter som behandlats med KL1333 visade förbättringar som inte sågs hos dem som fått placebo. Vi var också glada att i den studien kunna konstatera att patienter som hade mer läkemedel i kroppen gjorde bättre ifrån sig vid de kliniska bedömningarna.

Sammantaget tyder våra data på att KL1333 visar effekt i patienter, och vi ser fram emot att testa detta i en större patientpopulation i FALCON-studien.

det här numret av nyhetsbrevet berättar vår medicinska chef, Magnus Hansson, och vår kliniska projektledare, Fia Ence, mer om KL1333 och vår FALCON-studie.

Samtidigt som vi fokuserade på studiestart, prioriterade vi också möten med patienter, läkare, forskare och personal på våra studiecentrum, och vi har rest till Storbritannien, Frankrike, Italien och Danmark under de senaste månaderna. Under de senaste två veckorna begav sig medlemmar ur Ablivas team till Cambridge i Storbritannien för att medverka vid konferensen Mitochondrial Medicine - Therapeutic Development (där vi presenterade en poster) och sedan blev jag inbjuden att presentera för skandinaviska biotechbolag och investerare på Nordic American Life Science Conference i New York.

När jag reflekterar över det här året är jag tacksam för det duktiga och drivna teamet på Abliva, ett lovande huvudprogram och ett andra program fullt av potential, vår framgångsrika kapitalanskaffning mitt i ett svårt marknadsläge samt alla ni som följer med oss på denna viktiga resa. Vi utvecklar läkemedel för patienter som lider av dessa förödande och försvagande primära mitokondriella sjukdomar. De har ingenting. De behöver vår hjälp!

Önskar er alla en god jul och ett gott nytt år.

Ellen Donnelly
VD

Intervju

Magnus och Fia om starten av FALCON-studien

I början på december meddelades att bolagets FALCON-studie med KL1333, i patienter med mitokondriella sjukdomar, inletts. Efter omfattande förberedelser i form av ansökningar till regulatoriska myndigheter i olika länder, slutförande av studieprotokollet, förhandlingar med studiecentrumen samt utbildning av studiepersonalen, har alltså denna efterlängtade, potentiellt registreringsgrundande, fas 2-studie satts i gång. I centrum för detta arbete står Ablivas medicinska chef, Magnus Hansson, och Fia Ence, bolagets projektledare klinisk utveckling.

Hej! Först och främst, grattis till studiestarten. Vilka faktorer var det som gjorde detta möjligt?
-Nu har studien godkänts av ett flertal regulatoriska myndigheter och etikkommittéer i Europa och USA. Dessutom är den omfattande logistik som krävs också på plats för bland annat tabletthantering, möjligheter till virtuella besök på distans för deltagande patienter och studiespecifika appar där patienterna själva fyller i flera av studiens effektmått i hemmet för att vi ska kunna utvärdera effekter på sjukdomens symptom i det dagliga livet.

Kan ni kort berätta om studieupplägget? Vad krävs för att få delta i studien?
-Studien riktar sig till patienter med mitokondriell sjukdom och som lider av svår trötthet och utmattning samt muskelsvaghet. I studien undersöker vi effekten av KL1333 på just dessa sjukdomsuttryck med förhoppningen att kunna visa att patienterna känner mindre av denna svåra trötthet, att det begränsar deras dagliga liv mindre och att deras muskler fungerar bättre. För att delta i studien kommer patienterna först att genomgå ett första besök på det kliniska studiecentrumet och därefter en s k screeningperiod på 8-12 veckor, där man säkerställer att de möter de kriterier som krävs för deltagande i studien. Efter det följer en behandlingsperiod på 48 veckor, där patienterna randomiseras till att antingen få tabletter med KL1333 eller placebo (tabletter med identiskt utseende fast utan verksam substans). Studien avslutas med en fem veckor lång uppföljningsperiod. Under studiens gång vet ingen (varken läkare, patienter eller medarbetare på Abliva) om patienterna får KL1333 eller placebo.

När tror ni att den första patienten kommer att doseras?
-Som vi nyligen meddelat har vi startat upp de första kliniska studiecentrumen och fler centrum kommer att startas upp i början av nästa år. Vi har en screeningperiod på 8 till 12 veckor vilket gör att det passerar ett par månader mellan första screenade patient och första doserade patient. Vi förväntar oss att första patienten doseras under första kvartalet nästa år.

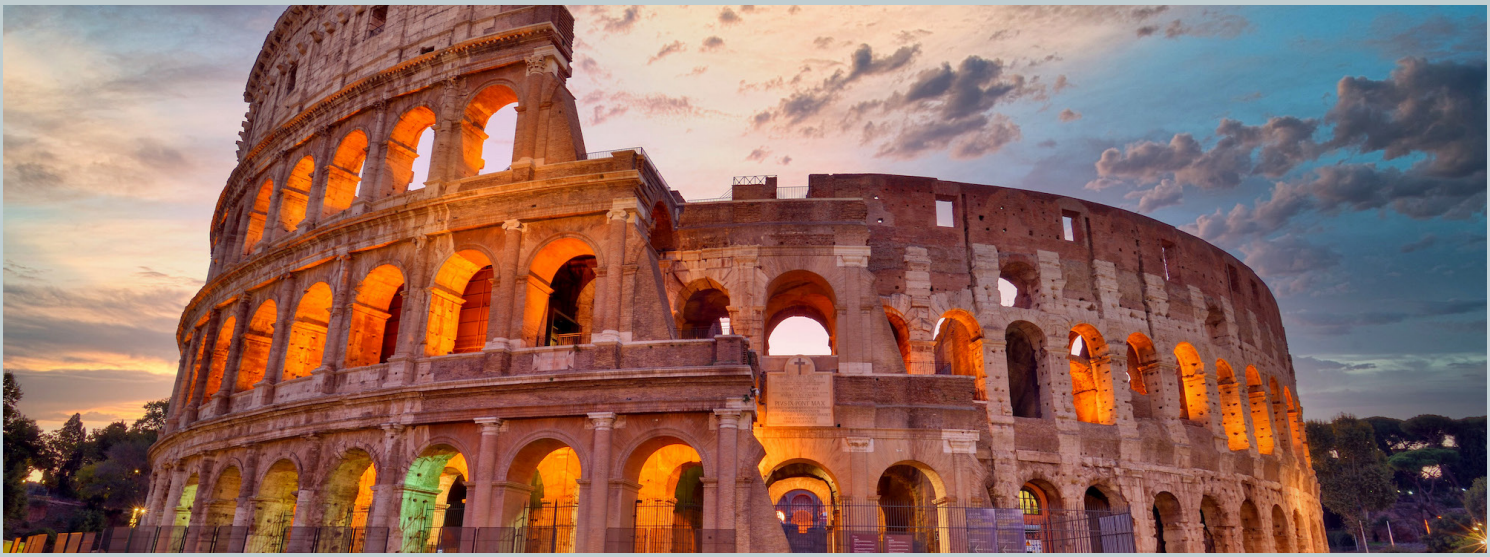
I vilka länder ligger de studiecentrum som är i gång i dagsläget och varför just i dessa?
-De centrum som nu initierats ligger i Danmark och Storbritannien. Det var i dessa två länder vi först fick komplett godkännande av samtliga myndigheter och etikkommittéer. Vi för vidare diskussioner med övriga länder och förväntar oss se de flesta centrum startas upp under januari-februari nästa år.

I vanliga fall brukar läkemedelsbolag göra både fas 2- och 3-studier innan de ansöker om marknadsgodkännande och läkemedlet blir registrerat. Hur kommer det sig att just FALCON-studien kan komma att bli registreringsgrundande?
-För ovanliga sjukdomar såsom mitokondriella sjukdomar finns det ett begränsat antal patienter, så det går inte att göra studier på tusentals patienter som vid utveckling av tex blodtrycksmediciner. När vi har diskuterat utvecklingsplanen med myndigheter rekommenderade de oss att designa studien på ett sätt som stödjer registrering om den visar positiva resultat. Detta gjorde förberedelsefasen mer omfattande eftersom det var fler viktiga aktiviteter som behövde utföras för att göra en registrering möjlig, till exempel validerande av det första specifika effektmåttet för svår trötthet och utmattning vid mitokondriell sjukdom. Det är också bland annat av den anledningen som studien har en så pass lång behandlingstid som 48 veckor.

Vad händer nu i studien, och vad är nästa stora milstolpe?
-När vi nu har startat studien blickar vi framåt mot den interimsanalys som vi förväntar oss i slutet av 2023 eller början av 2024. Ungefär hälften av alla studiecentrum som vi har valt ut för hela studien aktiveras i ett första skede. Dessa centrum kommer rekrytera de första 40 patienter som krävs för interimsanalysen. När samtliga 40 patienter har behandlats i minst 6 månader kommer det göras en beräkning av hur stor studien behöver vara för att kunna visa statistiskt säkerställda resultat för båda våra primära effektmått (även om det räcker med att ett av dem är positivt i slutändan för att studien ska vara lyckad). Därefter kommer vi starta resterande studiecentrum för att rekrytera totalt 120-180 patienter och slutföra hela studien.

Information om FALCON-studien finns nu tillgänglig på ClinicalTrials.gov.

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05650229.



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:

Mitocon - Italian Meeting on Mitochondrial Diseases
Rom, Italien
8 - 9 oktober 2022.

Mitochondrial Medicine - Therapeutic Development
Cambridge, Storbritannien
21 - 23 november 2022.

Aktiespararna Västra Blekinge/Bromölla
Olofström
8 november 2022.

Aktiespararna Sydöstra Skåne
Tommarp
17 november 2022.

Aktiespararnas Stora Aktiedagen Stockholm
28 - 30 november 2022.
Se presentationen: https://youtu.be/XDOgwgNDmRU

Nordic American Life Science Conference
New York, USA
7 -8 december 2022.