

Stockholm, 23 oktober 2017

Wilson Therapeutics överens med FDA och EMA om att starta den pivotala fas 3-studien FOCuS med WTX101 för Wilsons sjukdom

Wilson Therapeutics AB (publ.) tillkännager i dag att diskussionerna med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA och den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA, avseende studieprotokollet för Wilson Therapeutics enda pivotala fas 3-studie FOCuS med WTX101 för Wilsons sjukdom, har avslutats framgångsrikt. Wilson Therapeutics kommer nu att slutföra alla förberedelser för att starta studien och den första patienten förväntas starta studiebehandlingen i början av 2018. WTX101 (biskolintetrathiomolybdat) är en ny typ av koppar-proteinbindande substans med en unik verkningsmekanism, som utvärderas som en ny behandling av Wilsons sjukdom.

Fas 3-studien FOCuS kommer att vara en randomiserad, kontrollerad klinisk fas 3-studie där effekt- och biverkningsprofilen för WTX101, givet som monoterapi en gång om dagen, jämförs med dagens standardbehandlingar under 48 veckor i patienter som är 18 år eller äldre. Studien kommer att inkludera cirka 100 patienter med leversymptom och/eller neurologiska symptom och som antingen behandlas med ett idag godkänt läkemedel för Wilsons sjukdom eller är tidigare obehandlade. Det primära effektmålet kommer att vara kontroll av koppar definierat som procentuell förändring av nivåerna av fritt koppar i blodet från behandlingsstarten till vecka 48. Fritt koppar kommer att mätas som $NCC_{corrected}$, samma mått som användes i den framgångsrika fas 2-studien. Övriga effektmått kommer att omfatta ett antal parametrar avseende kliniska symptom (leverrelaterade, neurologiska, psykiatriska samt patienters upplevda handikapp), livskvalitet och biverkningar. Studien kommer att genomföras på cirka 30 kliniker i USA, EU och Israel, inklusive de kliniker som deltog i den avslutade fas 2-studien. Patienter som genomgår hela den 48 veckor långa studieperioden kommer att erbjudas möjligheten att fortsätta behandlingen med WTX101 i en förlängningsfas av studien.

Som ett led i Wilson Therapeutics övergripande målsättning att förbättra livskvaliteten för patienter med Wilsons sjukdom kommer bolaget parallellt med FOCuS-studien även att fortsätta med explorativ forskning för att ytterligare förbättra förståelsen av sjukdomen, verkningsmekanismen för WTX101 och dess påverkan på kontrollen av fritt koppar.

“Vi är väldigt glada att kunna föra WTX101 vidare in i den avslutande utvecklingsfasen och påbörjar nu den första globala randomiserade kontrollerade kliniska studien någonsin för Wilsons sjukdom. Vi har fått mycket stöd i samarbetet med FDA och EMA och deras synpunkter har varit väldigt betydelsefulla för oss i utformningen av fas 3-studien. Vi är övertygade om att vi nu har en robust studiedesign med potential att upprepa de utmärkta studieresultaten vi såg i fas 2 och som kan ligga till grund för ett framtida marknadsgodkännande,” säger Jonas Hansson, VD för Wilson Therapeutics.

“Efter att ha behandlat patienter med Wilsons sjukdom i över 30 år är det väldigt spännande att vara en del av utvecklingsprogrammet för WTX101. I dag behandlas patienterna med läkemedel som introducerades på 1950- och 60-talen och det finns ett stort behov av bättre behandlingsalternativ. Vi är därmed väldigt glada att kunna erbjuda behandling med WTX101 inom ramen för en klinisk studie. Resultaten från fas 2-studien var mycket lovande, i synnerhet de snabba och kliniskt relevanta förbättringar av symptomen som uppnåddes med behandling med WTX101 en gång om dagen. Möjligheten att kunna använda WTX101 för att undvika den paradoxala läkemedelsinducerade neurologiska försämring som förekommer hos vissa patienter som påbörjar behandling med de idag godkända läkemedlen penicillamin och trientin är också

Stockholm, 23 oktober 2017

väldigt hoppningivande. Dessutom kan det faktum att WTX101 doseras en gång om dagen leda till minskad behandlingsbörda, förbättrad följsamhet till ordinerad behandling och i förlängningen till bättre behandlingsresultat. Jag har goda förhoppningar om att vi kommer att kunna upprepa de positiva fas 2-resultaten i fas 3,” säger Frederick K. Askari, MD, PhD, Associate Professor och Director of the Wilson Disease program på University of Michigan.

Om fas 3-studien FOCuS

Fas 3-studien FOCuS kommer att vara en randomiserad, kontrollerad klinisk fas 3-studie där effekt- och biverkningsprofilen för WTX101, givet som monoterapi en gång om dagen, jämförs med dagens standardbehandlingar under 48 veckor i patienter som är 18 år eller äldre. Studien kommer att inkludera cirka 100 patienter med leversymptom och/eller neurologiska symptom och som antingen behandlas med ett idag godkänt läkemedel för Wilsons sjukdom eller är tidigare obehandlade. Cirka 25% av de rekryterade patienterna förväntas vara tidigare obehandlade eller ha behandlats med dagens standardbehandling i upp till 28 dagar. Patienterna kommer att randomiseras 2:1 till behandling med WTX101 eller annat i dag godkänt läkemedel för behandling av Wilsons sjukdom. Studien är utformad för att visa att WTX101 är minst lika effektiv som existerande läkemedel och det primära effektmålet kommer att vara kontroll av koppar definierat som procentuell förändring av nivåerna av fritt koppar i blodet från behandlingsstarten till vecka 48. Fritt koppar i blodet kommer att mätas som koppar som inte är bundet till ceruloplasmin, justerat för halten koppar bundet i komplex bestående av tetrathiomolybdat, koppar och albumin ($NCC_{corrected}$). Övriga effektmått kommer att omfatta ett antal parametrar avseende kliniska symptom (leverrelaterade, neurologiska, psykiatriska samt patienters upplevda handikapp), livskvalitet och biverkningar. Studien kommer att genomföras på cirka 30 kliniker i USA, EU och Israel. Patienter som genomgår hela den 48 veckor långa studieperioden kommer att erbjudas möjligheten att fortsätta behandlingen med WTX101 i en förlängningsfas av studien.

Om WTX101 (biskolintetrathiomolybdat)

WTX101 (biskolintetrathiomolybdat) är en ny typ av koppar-proteinbindande substans med en unik verkningsmekanism, som utvärderas som en ny behandling av Wilsons sjukdom. Till skillnad från existerande behandlingar möjliggör WTX101 en alternativ mekanism för koppar-proteinbindning genom att bilda komplex med koppar och albumin. På så sätt neutraliseras överflödigt koppar i både levern och blodet och mer koppar utsöndras via gallan, vilket är kroppens naturliga sätt att göra sig av med koppar.

En fas 2-studie som utvärderade effekt och biverkningar av WTX101 i patienter med Wilsons sjukdom har avslutats framgångsrikt. Den aktiva substansen i WTX101, tetrathiomolybdat, har även prövats i flera andra kliniska studier för Wilsons sjukdom. Resultaten från dessa studier tyder på att WTX101 snabbt kan sänka och kontrollera nivåerna av fritt koppar samt förbättra både symptom och upplevda handikapp. Tillgängliga data tyder också på att WTX101 generellt sett tolereras väl och medför en låg risk för försämring av neurologiska symptom. Biverkningsprofilen och den förväntade doseringen en gång om dagen kan potentiellt göra det lättare för patienter med Wilsons sjukdom att följa ordinerad behandling och att färre därför avbryter behandlingen, vilket i slutändan kan komma att medföra bättre behandlingsresultat. WTX101 har klassificerats som sär-läkemedel för behandling av Wilsons sjukdom i såväl USA som Europa.

Det har även visats att WTX101 skulle kunna fungera som behandling av flera andra sjukdomar, exempelvis amyloid lateral skleros (ALS). WTX101 har klassificerats som sär-läkemedel för behandling av ALS i USA.

Stockholm, 23 oktober 2017

Om Wilsons sjukdom

Koppar är ett ämne som är nödvändigt för att flera fysiologiska processer i kroppen ska fungera. Eftersom det kan vara giftigt för kroppen är koppar normalt hårt bundet till speciella kopparbärande proteiner i levern och överflödigt koppar utsöndras via gallan. Wilsons sjukdom är en ovanlig genetisk sjukdom där kroppens förmåga att transportera och utsöndra koppar är nedsatt som ett resultat av att det kopparbindande proteinet ATP7B inte fungerar tillfredsställande. Detta leder till att leverns kapacitet att lagra koppar blir överbelastad, fritt koppar sprids i blodet och i förlängningen till att skadliga kopparnivåer ansamlas i hjärnan och andra organ. Om sjukdomen inte behandlas leder den utan undantag till skador på levern och/eller neurologiska eller psykiatriska symptom av varierande svårighetsgrad och slutligen till att patienten avlider.

Wilsons sjukdom drabbar ungefär en av 30 000 individer världen över, vilket motsvarar en prevalens om cirka 10 000 patienter i USA och 15 000 patienter i EU. Existerande behandlingar för Wilsons sjukdom introducerades på 1950- och 60-talen. Sedan dess har inga nya behandlingsalternativ utvecklats och det finns fortfarande stora otillfredsställda medicinska behov.

Om Wilson Therapeutics

Wilson Therapeutics är ett bioteknikbolag, baserat i Stockholm, som utvecklar nya läkemedel för patienter med ovanliga kopparrelaterade sjukdomar. Wilson Therapeutics huvudprodukt WTX101 utvecklas primärt som en ny behandling av Wilsons sjukdom. En klinisk fas 2-studie har avslutats framgångsrikt och förberedelser för en registreringsgrundande fas 3-studie pågår. Bolaget är noterat i Mid Cap-segmentet på Nasdaq Stockholm med kortnamn WTX.

Mer information finns på www.wilsontherapeutics.com.

För ytterligare information kontakta:

Jonas Hansson, VD, Wilson Therapeutics AB

Telefon: +46 8 796 00 00

E-post: jonas.hansson@wtx.se

Wilson Therapeutics AB (publ)

Org nr 556893-0357

Kungsgatan 3

SE-111 43 Stockholm

Informationen i pressmeddelandet är sådan som Wilson Therapeutics är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 23 oktober 2017 kl. 08:00 CET.