

Stockholm, 24 april 2017

Wilson Therapeutics presenterade positiva slutliga fas 2-data för WTX101 på vetenskaplig konferens anordnad av EASL

Wilson Therapeutics AB (publ), tillkännager i dag att de slutliga resultaten från bolagets fas 2-studie av WTX101 (biskolintetrathiomolybdat) - en ny typ av kopparmodulerande substans med en unik verkningsmekanism som utvärderas som en ny behandling av Wilsons sjukdom - har presenterats som en så kallad late-breaker-presentation på The International Liver Congress™ 2017. Kongressen är en årlig vetenskaplig leverkonferens som anordnades av the European Association for the Study of the Liver (EASL), i Amsterdam 19 - 23 april. Presentationen hölls av Professor Karl Heinz Weiss, MD, från Heidelbergs Universitet. Presentationen omfattade de slutliga resultaten för samtliga leverparametrar som studerades i fas 2-studien av WTX101, samt resultaten för kopparkontroll och neurologiska symptom under hela studiens gång. Som tidigare har rapporterats uppfylldes det primära effektmålet ($p < 0,001$) för kontroll av koppar i den kliniska fas 2-studien.

Fas 2-studien WTX101-201 var en öppen studie som bedrevs vid flera behandlingscenter, där effekt- och biverkningsprofilen för WTX101, givet som monoterapi under 24 veckor, utvärderades i 28 nydiagnostiserade patienter med Wilsons sjukdom som var 18 år eller äldre och som antingen var tidigare obehandlade eller hade behandlats i upp till två år med ett annat läkemedel för Wilsons sjukdom. Samtliga patienter som slutförde den 24 veckor långa studieperioden valde att fortsätta behandlingen med WTX101 i en förlängningsfas av studien.

"Det finns ett stort behov av förbättrade behandlingar för Wilsons sjukdom som en högre andel av patienterna svarar på och som snabbt kontrollerar fritt koppar, har färre biverkningar och är enklare att dosera," säger Professor Weiss. "De här resultaten visar att WTX101 har potential att snabbt sänka nivåerna av fritt koppar då behandlingen normaliserade kopparnivåerna redan efter 12 veckor. Detta förefaller även leda till en klar förbättring av patienternas symptom då vi såg att en hög andel av patienterna tydligt förbättrades. WTX101 kan också tas en gång om dagen vilket kan komma att leda till att patienterna bättre följer ordinerad behandling jämfört med vad de gör idag. Följsamhet till ordinerad behandling är ett stort problem som ofta leder till bristande behandlingsresultat. Sammantaget är de här resultaten mycket hoppningivande för alla patienter och andra som berörs av Wilsons sjukdom."

"Data från fas 2-studien visar att WTX101 generellt tolereras väl, och att få patienter rapporterar mag-tarm- eller hudproblem vilket är vanligt förekommande för dagens behandlingar," säger Carl Bjartmar MD, PhD, medicinsk chef på Wilson Therapeutics. "Det är även mycket positivt att behandlingen ledde till en förbättring av patienternas neurologiska status och upplevda handikapp i vardagen samt att vi inte har observerat något fall av tidig läkemedelsinducerad neurologisk försämring efter att behandlingen med WTX101 initierats, en allvarlig biverkning som rapporterats med dagens behandlingar."

Det primära effektmålet var definierat som att efter 24 veckors behandling uppnå eller bibehålla normaliserade nivåer av fritt koppar i blodet uppgående till högst 2,3 μM , eller uppnå en minskning om minst 25% av nivån av fritt koppar i blodet jämfört med studiestarten, och det uppfylldes för 71% av patienterna ($p < 0,001$). Fritt koppar i blodet mättes som koppar som inte är bundet till ceruloplasmin (NCC), justerat för halten koppar bundet i komplex bestående av tetrathiomolybdat, koppar och albumin. Beräknat för samtliga patienter i studien var den genomsnittliga sänkningen av fritt koppar i blodet från startnivåerna 72% ($p < 0,0001$) efter 24 veckors behandling med WTX101 som monoterapi. Den genomsnittliga nivån av fritt koppar i blodet normaliserades efter 12 veckors behandling.

Stockholm, 24 april 2017

De sekundära effektmåtten omfattade flera olika lever- och neurologiska parametrar. Leverfunktionen, mätt med INR, albumin och modified Nazer Score var stabil efter 24 veckor. Leverstatus mätt med Model for End-Stage Liver Disease (MELD) var också oförändrad under studiens gång vilket indikerar stabilisering. Patienters upplevda handikapp i vardagen och neurologisk status, mättes med Unified Wilson Disease Rating Scale (UWDRS) del 2 respektive del 3. Signifikanta neurologiska förbättringar uppnåddes efter 24 veckors behandling gällande både patienternas upplevda handikapp i vardagen ($p < 0,001$) och neurologiska status ($p < 0,0001$).

Behandlingen med WTX101 tolererades generellt väl. De flesta av de rapporterade biverkningarna var milda (grad 1) till måttliga (grad 2). Reversibelt förhöjda levertransaminasvärden observerades i 39% av patienterna. Dessa förhöjningar var generellt milda till måttliga, symptomfria och normaliserades efter justering av dosen. Inget fall av läkemedelsinducerad neurologisk försämring observerades under den initiala fasen av behandling med WTX101.

”Vi är väldigt nöjda med den kliniska utvecklingen av WTX101”, säger Jonas Hansson, VD för Wilson Therapeutics. ”Vi anser att WTX101 har potentialen att adressera flera av de medicinska behoven inom Wilsons sjukdom och arbetar nu med att slutföra förberedelserna inför fas 3 som vi planerar att påbörja under andra halvåret.”

Om WTX101-201

WTX101-201 är en öppen klinisk fas 2-studie där effekt- och biverkningsprofilen för WTX101, givet som monoterapi under 24 veckor, utvärderades i 28 nydiagnostiserade patienter med Wilsons sjukdom som var 18 år eller äldre och som antingen var tidigare obehandlade eller hade behandlats i upp till två år med ett annat läkemedel för Wilsons sjukdom. Patienterna som deltog i studien uppvisade olika grader av leverpåverkan vid tidpunkten för studiestarten och majoriteten av patienterna hade även neurologiska symptom vid behandlingsstarten. Studien genomfördes på 11 kliniker i USA och Europa. Patienterna behandlades med WTX101 individuellt doserat på nivåer mellan 15 och 120 mg/dag. Det primära effektmåttet var definierat som att, efter 24 veckors behandling, uppnå eller bibehålla normaliserade nivåer av fritt koppar i blodet uppgående till högst 2,3 μM , eller uppnå en minskning om minst 25% av nivån av fritt koppar i blodet jämfört med studiestarten. Fritt koppar i blodet mättes som koppar som inte är bundet till ceruloplasmin (NCC), justerat för halten koppar bundet i komplex bestående av tetrathiomolybdat, koppar och albumin. Sekundära effektmått omfattade reduktion av fritt koppar i blodet från behandlingsstarten, upplevt handikapp i vardagen och neurologisk status skattade med Unified Disease Rating Scale (UWDRS) del 2 respektive del 3, leverstatus mätt med Modified Nazer Score, samt livskvalitet mätt med EuroQOL 5 Dimensions (EQ5D).

Om WTX101 (biskolintetrathiomolybdat)

WTX101 (biskolintetrathiomolybdat) är en ny typ av kopparmodulerande substans med en unik verkningsmekanism, som utvärderas som en ny behandling av Wilsons sjukdom. Till skillnad från dagens behandlingar för Wilsons sjukdom, binder WTX101 koppar specifikt och verkar direkt i levern där det avlastar kroppens egna överbelastade lagringssystem för koppar. WTX101 neutraliserar även snabbt toxiskt fritt koppar i blodet och andra vävnader genom att bilda komplex med överflödigt koppar och albumin, som sedan utsöndras via gallan som är kroppens naturliga sätt att göra sig av med överflödigt koppar.

En fas 2-studie som utvärderade effekt och biverkningar av WTX101 i patienter med Wilsons sjukdom avslutades framgångsrikt 2016. Den aktiva substansen i WTX101, tetrathiomolybdat, har även prövats i flera andra kliniska studier för Wilsons sjukdom. Resultaten från dessa studier

Stockholm, 24 april 2017

tyder på att WTX101 snabbt kan sänka och kontrollera de toxiska nivåerna av fritt koppar och förbättra symptomen för patienter med Wilsons sjukdom. Tillgängliga data tyder också på att WTX101 generellt sett tolereras väl och kan medföra en minskad risk för försämring av neurologiska symptom när behandlingen initieras. WTX101 beräknas kunna doseras en gång per dag, vilket potentiellt innebär att patienter med Wilsons sjukdom får lättare att följa ordinerad behandling och att färre därför avbryter behandlingen vilket i slutändan kan komma att medföra bättre behandlingsresultat. WTX101 har klassificerats som säräkemedel för behandling av Wilsons sjukdom i såväl USA som Europa.

Om Wilsons sjukdom

Wilsons sjukdom är en ovanlig genetisk sjukdom som påverkar kroppens kopparmetabolism och som leder till allvarlig kopparförgiftning. Den genetiska defekten innebär en allvarlig nedsättning av kroppens förmåga att reglera kopparbalansen i kroppen vilket resulterar i livshotande skador på levern, hjärnan och andra organ om sjukdomen inte behandlas. 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 och sedan dess har inga nya behandlingsalternativ utvecklats för Wilsons sjukdom.

Om Wilson Therapeutics

Wilson Therapeutics är ett bioteknikbolag, baserat i Stockholm, som utvecklar nya läkemedel för patienter med ovanliga 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

Västra Trädgårdsgatan 15

SE-111 53 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 24 april 2017 kl. 08.00 CET.