

Stockholm, 1 oktober, 2017

Lovande preliminära långtidsdata från förlängningsfasen av fas 2-studien med WTX101 presenteras på AASLD:s årliga konferens

Wilson Therapeutics AB (publ.) tillkännager i dag att preliminära data från den pågående förlängningsfasen av bolagets fas 2-studie av WTX101 (biskolintetrathiomolybdat) – en ny typ av koppar-proteinbindande substans med en unik verkningsmekanism som utvärderas som en ny behandling av Wilsons sjukdom – kommer att presenteras som en poster på The Liver Meeting®, vilket är en årlig vetenskaplig leverkonferens som anordnas av the American Association for the Study of Liver Diseases (AASLD) i Washington DC, 20-24 oktober, 2017.

I en sammanfattning av postern som publiceras online i dag framgår att de initiala förbättringar som observerades efter 24 veckor bibehölls. Nivåerna av fritt koppar, leverstatus och neurologisk status var stabila eller förbättrades ytterligare efter 48 veckors behandling med WTX101 under förlängningsfasen.

Samtliga 22 patienter som slutförde den 24 veckor långa öppna fas 2-studien valde att fortsätta behandlingen med WTX101 en gång om dagen i studiens förlängningsfas. Resultaten efter 48 veckor visar fortsatt kontroll av fritt koppar. Den genomsnittliga nivån av fritt koppar som inte var bundet till ceruloplasmin ($NCC_{corrected}$) fortsatte att sjunka från 0,9 μM to 0,5 μM från vecka 24 till vecka 48.

Levertestresultaten var stabila eller förbättrades till vecka 48 från vecka 24, vilket indikerar att patienternas leverfunktion är stabil.

Fortsatta förbättringar observerades av både sjukdomsrelaterade upplevda handikapp i vardagen och neurologisk status. Upplevda handikapp i vardagen, mätt med Unified Wilson Disease Rating Scale (UWDRS) del 2, förbättrades från i genomsnitt 4,1 till 2,1 från vecka 24 till vecka 48. Neurologisk status, mätt med UWDRS del 3, förbättrades från i genomsnitt 16,6 till 12,5.

WTX101 tolererades generellt sett väl. De reversibelt förhöjda leverenzymvärden som observerades i cirka en tredjedel av patienterna i den initiala fas 2-studien observerades inte under förlängningsfasen.

Sammanfattningar av de vetenskapliga presentationerna på AASLD-mötet publiceras idag på AASLD:s hemsida www.aasld.org.

Postertitel: An Ongoing Extension of a Phase 2 Study of WTX101 in Newly Diagnosed Patients with Wilson Disease.

Posternummer: 802

Författare: Michael L. Schilsky, Frederick K. Askari, Anna Czlonkowska, Peter Ferenci, Jeff Bronstein, Danny Bega, Aftab Ala, David Nicholl, Karl Heinz Weiss

Datum för presentation: 21 oktober, 2017

Tid: 17:30-19:30 ET

Session: Genetic and Metabolic Liver Disease

Plats: Walter E. Washington Convention Center, Washington DC

Stockholm, 1 oktober, 2017

Om fas 2-studien

WTX101-201 var 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, justerat för halten koppar bundet i komplex bestående av tetrathiomolybdat, koppar och albumin (NCC_{corrected}). 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 Visual Analogue Scale (EQ VAS).

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 säräkemedel 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 säräkemedel för behandling av ALS i USA.

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

Stockholm, 1 oktober, 2017

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.

Wilson's 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 Wilson's 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 sjukdomar. Wilson Therapeutics huvudprodukt WTX101 utvecklas primärt som en ny behandling av Wilson's 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 1 oktober 2017 kl. 18:00 CET.