

Preliminära långtidsdata för WTX101 i Wilsons sjukdom presenteras på EASL:s årliga konferens

Wilson Therapeutics AB (publ) tillkännager i dag att preliminära långtidsdata avseende effekt och biverkningsprofil 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 – har valts ut för att presenteras som en så kallad late-breaker-poster på The International Liver Congress™ 2018, vilket är en årlig vetenskaplig leverkonferens som anordnas av the European Association for the Study of the Liver (EASL) i Paris 11-15 april 2018.

En sammanfattning av postern blir tillgänglig i dag och där beskrivs att de initiala förbättringar av nivåerna av fritt koppar, leverstatus och neurologisk status som observerades efter 24 och 48 veckor bibehölls eller förstärktes ytterligare efter 72 veckors behandling med WTX101 en gång om dagen. Som tidigare rapporterats sänktes den genomsnittliga nivån av fritt koppar som inte var bundet till ceruloplasmin ($NCC_{corrected}$) signifikant under fas 2-studien från 3,6 μM vid studiestarten till 0,9 μM till vecka 24, och till 0,5 μM efter 48 veckor. De data som presenteras på EASL visar att kopparnivåerna fortsatt är kontrollerade och uppgår till 0,5 μM vecka 72. Kontinuerliga förbättringar av sjukdomsrelaterade upplevda handikapp i vardagen och neurologisk status utvärderad av behandlande läkare fortsatte för de flesta patienterna i studien. Leverfunktionstester (INR ALT, Albumin) och leverstatus mätt med MELD var stabila eller förbättrades till vecka 72 från vecka 24, vilket indikerar stabilisering av patienternas leverfunktion. Av postern framgår även att WTX101 har en mycket lovande långsiktig biverkningsprofil. Ytterligare detaljer kommer att bli tillgängliga när postern presenteras.

Information om presentationen av postern:

Abstract identifier: LBP-001

Titel: "Long-term efficacy and safety of WTX101 in Wilson disease: Data from an ongoing extension of a phase 2 study (WTX101-201)"

Presentatör: Karl Heinz Weiss, MD, Professor, University of Heidelberg, Germany

Session: Late Breaker Posters

Datum: 12 april 2018

Tid: från 09:00 CET

Plats: Poster Area, Paris expo Porte de Versailles – Pavillon 7



Sammanfattningen av presentationen finns tillgänglig på konferensens webbsite: <https://ilc-congress.eu>.

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 som bildas under behandlingen med WTX101 (NCCcorrected). 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). En 36 månader lång förlängningsfas av studien pågår.

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 läkemedelsinducerad 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 beviljats Fast Track-status i USA och 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 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 och utvärderas för närvarande i en klinisk fas 3-studie. 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

Lauren Williams, Head of Investor Relations, Wilson Therapeutics AB

Telefon: +44 7958 669 896
E-post: lauren.williams@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 28 mars 2018 kl. 10:00 CET.

