

NextCell rapporterar numeriskt gynnsamma resultat hos yngre barn - vuxenstrategin ligger fast

NextCell Pharma AB (publ) ("NextCell" eller "Bolaget") meddelar idag 12-månadersresultaten från ProTrans-Young. I den fördefinierade åldersgruppen 7-11 år hade behandlade barn efter tolv månader i genomsnitt bevarat en större andel av sin egen insulinproduktion och behövde öka sin insulindos mindre än barn som fått placebo. Studien uppnådde inte sitt primära effektmått i totalpopulationen. En preliminär analys av 24-månadersdata från den äldre åldersgruppen visar inte någon tydlig behandlingseffekt, men resultaten är ännu inte fullständigt analyserade eller validerade. NextCells strategi för kommersialisering hos vuxna ligger fast, samtidigt som bolaget avser att vidareutveckla barnprogrammet med fokus på behandlingstidpunkt och antal behandlingar. Fördjupade analyser planeras även för att undersöka hur ålder och individuella sjukdomsförlopp kan påverka behandlingssvaret.

"Hos de yngre barnen ser vi ett genomgående numeriskt positivt mönster, både vad gäller bevarad egen insulinproduktion och insulinbehov. Även om skillnaderna inte är statistiskt säkerställda ser vi ett uppmuntrande mönster som ger oss stöd för att fortsätta undersöka behandlingens potential hos yngre barn. Vi behöver nu undersöka om barn och ungdomar bör behandlas tidigare i sjukdomsförloppet eller med upprepade behandlingar. För vuxna ligger strategin fast: en infusion inom två år från diagnos, med målet att bevara den egna insulinproduktionen under många år", säger Mathias Svahn, vd för NextCell Pharma.

Numeriskt gynnsamma resultat hos barn 7-11 år

ProTrans-Young utvärderar NextCells cellterapi kandidat NXTCL-T1D (tidigare ProTrans) hos barn och unga med nydiagnostiserad typ 1-diabetes. Den randomiserade delen omfattar 60 patienter, med 15 patienter i vardera behandlingsarmen inom åldersgrupperna 7-11 respektive 12-21 år.

Preliminära ettårsresultat för gruppen 12-21 år offentliggjordes i april 2025 och visade ingen tydlig skillnad mellan behandling och placebo. Den nu aktuella rapporteringen tillför 12-månadersresultaten för den yngre åldersgruppen och den samlade analysen av båda åldersgrupperna.

Efter tolv månader hade de behandlade barnen i åldern 7-11 år i genomsnitt bevarat 64 procent av sin ursprungliga insulinproduktion, jämfört med 51 procent i placebogruppen. Även maximal C-peptidproduktion och förändringen i det dagliga insulinbehovet visade numeriskt gynnsamma skillnader till behandlingens fördel. Resultaten är deskriptiva och någon statistiskt säkerställd behandlingseffekt har inte påvisats.

Effektmått efter 12 månader, barn 7–11 år

	<u>NXTCL-T1D</u>	<u>Placebo</u>
Bevarad egen insulinproduktion (C-peptid-AUC) *	64 %	51 %
Ökning av dagligt insulinbehov	+0,15 E/kg	+0,24 E/kg

**Värdena för bevarad insulinproduktion avser genomsnittet av patienternas individuella procentuella förändringar jämfört med studiestart.*

För totalpopulationen var den justerade behandlingsskillnaden i C-peptid-AUC +0,0426 AUC-enheter (95 procents konfidensintervall –0,0722 till +0,1574; $p=0,46$). Deskriptivt hade de NXTCL-T1D-behandlade patienterna i genomsnitt bevarat 69 procent av sin ursprungliga insulinproduktion efter tolv månader, jämfört med 62 procent i placebogruppen. Den statistiska primäranalysen omfattade 55 patienter och justerades för C-peptid vid studiestart och åldersgrupp. Skillnaden var inte statistiskt signifikant.

Den justerade behandlingsskillnaden var numeriskt positiv även vid sex månader och låg på likartad nivå i känslighetsanalyserna för saknade data. De analyserade sekundära effektmått visade inte heller statistiskt signifikanta behandlingsskillnader i totalpopulationen.

I den yngre åldersgruppen saknas 12-månadersdata från fyra av de femton patienterna i behandlingsgruppen, medan samtliga patienter i placebogruppen har tillgängliga data. Detta begränsar möjligheterna att dra säkra slutsatser om de numeriskt positiva skillnaderna. Kompletterande känslighetsanalyser för saknade data genomfördes för totalpopulationen och visade fortsatt numeriskt positiva effektskattningar, men dessa analyser bekräftar inte en behandlingseffekt specifikt i den yngre åldersgruppen.

Preliminär 24-månadersuppföljning av den äldre åldersgruppen

NextCell har även genomfört en preliminär genomgång av 24-månadersdata från patienterna i åldern 12–21 år. Analysen visar inte någon tydlig skillnad i bevarad egen insulinproduktion mellan behandlade patienter och placebo, i linje med de tidigare kommunicerade 12-månadersresultaten för denna åldersgrupp.

Datamaterialet är ännu inte fullständigt analyserat eller validerat. NextCell planerar fördjupade explorativa analyser av individuella behandlingssvar, bland annat med hänsyn till ålder och kvarvarande insulinproduktion vid behandlingsstart.

Ett möjligt tillvägagångssätt är att jämföra patienternas observerade C-peptidproduktion med den förväntade utvecklingen utifrån individuella förutsättningar. Sådana analyser kan bidra till att identifiera mönster som inte framgår av gruppmedelvärdena och ge vägledning inför framtida studier. De ersätter dock inte studiens fördefinierade primäranalys. NextCell avser att återkomma med de fullständiga 24-månadersresultaten när analyserna har färdigställts.

Strategin för vuxna ligger fast – långtidsdata stödjer vägen mot marknadsgodkännande

NextCells fortsatta huvudstrategi är att kommersialisera NXTCL-T1D som en engångsbehandling för vuxna med kvarvarande egen insulinproduktion, inom två år efter diagnos. Inriktningen bygger på den publicerade randomiserade vuxenstudien, där en statistiskt signifikant skillnad i bevarad C-peptidproduktion påvisades efter tolv månader.

Tidigare rapporterade långtidsdata från vuxenprogrammet visar att skillnaden mellan behandlade patienter och placebo har kvarstått under flera år och vid femårsuppföljningen var större än efter det första året. Behandlade patienter hade efter fem år i genomsnitt bevarat 57 procent av sin ursprungliga insulinproduktion, jämfört med 15 procent i placebogruppen. Motsvarande värden efter ett år var 89 respektive 53 procent.

De nu rapporterade resultaten från barn i åldern 7–11 år omfattar de första tolv månaderna efter behandling. Vuxenprogrammets långtidsdata ger ett vetenskapligt motiv att undersöka om de numeriskt gynnsamma skillnaderna hos yngre barn kvarstår eller utvecklas med längre uppföljning. En motsvarande utveckling hos barn är dock ännu inte visad.

Programmet för barn och ungdomar utvecklas med fokus på sjukdomsstadium och behandlingsintensitet

Nydiagnostiserad typ 1-diabetes hos barn och ungdomar är en biologiskt heterogen sjukdomsfas. Diagnosdatumet anger när sjukdomen upptäcks, inte när den autoimmuna processen började. Vid diagnos kan patienterna därför ha olika mycket egen insulinproduktion kvar och ha nått olika långt i sjukdomsförloppet. Även remissionsfas, fortsatt förlust av insulinproduktion och biologisk mognad varierar mellan individer.

Utmaningarna med att utvärdera sjukdomsmodifierande behandlingar vid typ 1-diabetes beskrivs i en aktuell vetenskaplig artikel i tidskriften Diabetes. Författarna framhåller att ålder och kvarvarande C-peptidproduktion vid behandlingsstart är viktiga faktorer för den fortsatta sjukdomsutvecklingen. Ett mer precist patienturval, bättre karakterisering av sjukdomsstadium och en väl anpassad studiedesign kan därför förbättra förutsättningarna för att utvärdera nya behandlingar.

Som jämförelse omfattade fas III-studien PROTECT med teplizumab 328 barn och ungdomar. Patienterna i behandlingsgruppen fick två behandlingsskurer och det primära effektmåttet utvärderades efter 78 veckor. Studien visade en statistiskt signifikant skillnad i bevarad C-peptidproduktion. Studierna är inte direkt jämförbara, men illustrerar skillnader i patientantal, behandlingsupplägg och uppföljningstid mellan olika utvecklingsprogram.

Mot bakgrund av resultaten från ProTrans-Young avser NextCell att tillsammans med kliniska experter utvärdera när i sjukdomsförloppet barn bör behandlas och om upprepade behandlingar kan ge bättre förutsättningar att bevara den egna insulinproduktionen. Arbetet bygger vidare på bolagets erfarenheter av både engångsbehandling och upprepade behandlingar i vuxenprogrammet, samt den hittills gynnsamma säkerhetsprofilen för NXTCL-T1D. I de kliniska studierna har inga behandlingsrelaterade allvarliga biverkningar rapporterats.

En fortsatt viktig fråga är varför sjukdomsförlopp och behandlingsutfall varierar mellan patienter. Forskning inom det internationella nätverket TrialNet har visat att individuella C-peptidresultat kan analyseras i förhållande till den förväntade utvecklingen, baserat på bland annat patientens ålder och insulinproduktion vid studiestart. NextCell avser att undersöka om sådana explorativa analyser kan ge ytterligare kunskap om vilka patientgrupper och behandlingsförutsättningar som bör prioriteras i framtida studier.

I dialoger med ledande forskare och läkare inom typ 1-diabetes har NextCell även diskuterat möjligheterna med screening av barn och unga. Screening kan identifiera tidiga sjukdomsstadier innan kliniska symtom utvecklas och därmed skapa förutsättningar att studera sjukdomsmodifierande behandling tidigare i sjukdomsförloppet.

Bolaget avser därför att utvärdera möjligheten till framtida studier där barn identifieras genom screening och behandlas före klinisk debut. Detta är en möjlig framtida utvecklingsinriktning. Effekten av NXTCL-T1D i sådana sjukdomsstadier har ännu inte undersökts.

Om ProTrans-Young

ProTrans-Young är en prövarinitierad studie som sponsras av Uppsala universitet, med professor Per-Ola Carlsson som huvudprövare. Den randomiserade delen omfattar 60 barn och unga i åldern 7–21 år med nydiagnostiserad typ 1-diabetes och utvärderar behandling med NXTCL-T1D jämfört med placebo. NXTCL-T1D är en prövningsläkemedelskandidat baserad på allogena mesenkymala stromaceller, som utvecklas med målet att bevara patienternas egen insulinproduktion.

Denna information är sådan information som NextCell Pharma AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 26 oktober 2026 cirka klockan 07:45 CET.

För ytterligare information vänligen kontakta:

Mathias Svahn, CEO

Eric Gustafsson, CFO

Tel: 08-735 55 95

E-mail: info@nextcellpharma.com

Hemsida: www.nextcellpharma.com

LinkedIn: <https://www.linkedin.com/company/15255207/>

Twitter: <https://twitter.com/NextCellPharma>

Certified Adviser

Bolagets aktie är noterad på Nasdaq First North Growth Market.

RedEye Nordic Growth AB är bolagets Certified Adviser.

Om NextCell Pharma AB

NextCell är ett cellterapibolag i klinisk fas som utvecklar den patenterade NXTCL™-plattformen för behandling av immunmedierade sjukdomar, med en huvudkandidat inom typ 1-diabetes. NXTCL är utformad för att möjliggöra allogena cellterapi med kontrollerad immunmodulering, konsekvent effekt och skalbar tillverkning. Bolagets ledande kandidat inom typ 1-diabetes har visat potential att bevara insulinproduktionen och bromsa sjukdomsutvecklingen under flera år efter en enda behandling. Koncernen omfattar även de helägda dotterbolagen NextCell Sverige, NextCell Hong Kong, Cellaviva och QVance. Företaget startades 2014 och har sitt huvudkontor i Huddinge i anslutning till Karolinska Universitetssjukhuset.