

Oxabact® i kombination med intensiv dialys minskar oxalat i plasma och bromsar sjukdomsutveckling hos barn med svår hyperoxaluri

*STOCKHOLM – 12 mars 2020. OxThera AB, ett privatägt biofarmaceutiskt företag som arbetar för att förbättra livet för personer som lever med primär hyperoxaluri, meddelar idag att en fallstudie kopplad till behandling med Oxabact® har publicerats i den vetenskapliga tidskriften *Pediatric Nephrology*. Data från en 22 månader lång behandling av ett spädbarn under dialys, med primär hyperoxaluri av typ 1 och allvarlig infantil hyperoxaluri, visar minskade plasmanivåer av oxalat och stabiliserad systemisk kristalldeposition.*

Infantil hyperoxaluri är den allvarligaste formen av primär hyperoxaluri typ 1 (PH1) och leder ofta till terminal njursvikt (ESRD) under de första veckorna eller månaderna av livet. I denna patientgrupp är dialys otillräckligt för att rena blodet från de höga nivåerna av oxalat. Effekten blir skadliga koncentrationer av oxalat i blodplasma som i sin tur inducerar systemisk kristalldeposition, skador på inre organ och förtida död. I dagsläget är den enda botande behandlingen för patienter med denna åkomma sekventiell eller kombinerad lever- och njurtransplantation, ett ingrepp som är mycket riskfyllt för små barn.

Forskare vid Hannover Medical School och University of Bonn rapporterar i den aktuella publikationen om resultatet av behandling med OxTheras läkemedelskandidat Oxabact (*O. formigenes*) i en nyfödd flicka med PH1. Patienten uppvisade höga plasmanivåer av oxalat, uttalad nefrokalcinosis, terminal njursjukdom med upphävd urinutsöndring och oxalatdeposition i näthinnan. Vid 8 veckors ålder diagnosticerades patienten med PH1 varpå en daglig kombinationsbehandling med pyridoxin och peritoneal dialys samt hemodialys tre gånger i veckan sattes in. Behandlingen visade sig vara verkningslös för att motverka hyperoxaluri. Vid vecka 15 adderades behandling med Oxabact till den befintliga terapin, varefter ökande nivåer av plasmaoxalat först stabiliserades för att sedan sjunka från 130 µmol/L till 80 µmol/L. En stabilisering av kristalldeposition i njure och näthinna kunde också observeras.

Behandlingen med Oxabact tolererades väl och inga läkemedelsrelaterade biverkningar observerades. Efter 22 månaders behandling med Oxabact utfördes en lyckad lever- och njurtransplantation och lever- och njurfunktionen normaliserades inom några dagar efter operationen. Vid drygt två års ålder kunde patienten gå på förskola och visade en hälsosam utveckling av tal och rörelseförmåga, jämförbar med jämnåriga barn.

"Resultaten indikerar att behandling med Oxabact kan vara ett värdefullt alternativ för att motverka hyperoxaluri hos spädbarn som inte svarar tillräckligt bra på traditionella behandlingar fram till dess att en kombinerad lever- och njurtransplantation kan genomföras", säger professor Lars Pape, Head of the Department of Pediatric Kidney, Liver and Metabolic Disease vid Hannover Medical School och försteförfattare till den vetenskapliga rapporten.

En fas 3-studie med Oxabact (OC5-DB-02) och en uppföljningsstudie (OC5-OL-02) pågår för närvarande i patienter med bibehållen njurfunktion som lider av PH typ 1, typ 2 och typ 3. Oxabact har tilldelats Orphan Drug Designation i USA och EU för behandling av PH.

Artikeln

Journal: *Pediatric Nephrology*

Issue: 2020, doi: <https://doi.org/10.1007/s00467-019-04463-9>

Title: *Oxalobacter formigenes* treatment combined with intensive dialysis lowers plasma oxalate and halts disease progression in a patient with severe infantile oxalosis



För ytterligare information, vänligen kontakta:

Matthew Gantz, vd

Telefon: +1 484 680 3001

E-mail: matthew.gantz@oxthera.com

Om Oxabact

Oxabact är en bimodal enteral bioterapi som består av en frystorkad formulering av *Oxalabacter formigenes*, en icke-patogen bakterie som bryter ned oxalat. Oxabact ges oralt i form av kapslar. Genom att stimulera en aktiv och passiv utsöndring av oxalat från blodplasma till tarmen, möjliggör Oxabact att oxalat kan elimineras via tarmen vilket minskar bördan av oxalat för njurarna.

Om OxThera

OxThera AB utvecklar en ny behandling av primär hyperoxaluri – en sällsynt genetisk sjukdom som leder till allvarliga och potentiellt dödliga organskador. Idag saknas effektiva läkemedel och patienterna kan avlida vid en genomsnittlig ålder av 30 år, om de inte transplanteras. Oxtheras läkemedelskandidat Oxabact® befinner sig i en fas 3-studie och en registreringsansökan förväntas kunna lämnas in under andra halvåret 2022. Oxabact® har erhållit särlekemedelsstatus i USA och EU.