

## NeuroVives program för genetiska mitokondriella sjukdomar NVP015 når viktig milstolpe

*Lund, 30 november 2017 – NeuroVive Pharmaceutical AB (Nasdaq Stockholm: NVP, OTCQX: NEVPF), ett ledande företag inom mitokondriell medicin, tillkännagav idag att molekylerna i bolagets NVP015-program har uppvisat positiva effekter i experimentella modeller för genetiska mitokondriella sjukdomar. En substans för fortsatt utveckling har valts baserat på dess tolerabilitet, plasmastabilitet och organleverans, särskilt till hjärnan. Substansen kommer att genomgå ytterligare experimentella in vivo effektstudier och preklinisk utveckling.*

Målsättningen för NeuroVives NVP015-program är att utveckla ett behandlingsalternativ för patienter med genetiska mitokondriella sjukdomar, så som Leighs syndrom och MELAS, när de behöver extra energi vid till exempel en vanlig infektion. Vid energikriser riskerar denna patientgrupp förvärrade symptom och ett försämrat sjukdomsförlopp.

“Vi är mycket nöjda med utvecklingen i NVP015-programmet, som tillsammans med vårt KL1333-program belyser vårt starka engagemang för att utveckla nya behandlingar för genetiska mitokondriella sjukdomar,” kommenterade Magnus Hansson, Chief Medical Officer och ansvarig för preklinisk och klinisk utveckling vid NeuroVive.

För att utvärdera NVP015-substanserna samarbetar NeuroVive med Dr. Marni Falks forskningslaboratorium vid Children’s Hospital of Philadelphia (CHOP). Top line data från dessa studier visar att substanserna uppvisar fördelaktiga effekter i experimentella *C. elegans* modeller av genetisk mitokondriell sjukdom med komplex I-dysfunktion. Denna typ av dysfunktion i mitokondrierna (enskilt eller tillsammans med andra defekter) återfinns hos cirka 50 procent av patienter med genetiska mitokondriella sjukdomar. Komplex I-dysfunktion uppstår när den första av fem komplex i den mitokondriella andningskedjan inte fungerar normalt, vilket resulterar i att mitokondrierna inte kan producera tillräcklig mängd energi i cellerna, ATP.

”Detta är ett forskningsgenombrott som tar oss ett steg närmare vårt slutmål, att utveckla en terapeutisk behandling för situationer med akuta energikriser hos patienter med genetiska mitokondriella sjukdomar. För närvarande finns för denna patientgrupp endast behandlingsalternativ för symptomen. Syftet med NVP015-program är att skapa ett läkemedel som kan kringgå själva dysfunktionen, vilket skulle hjälpa mitokondrierna att fungera korrekt,” sade Eskil Elmér, Chief Scientific Officer vid NeuroVive.

*Denna information är sådan information som NeuroVive Pharmaceutical AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 30 november 2017 kl. 08:30.*

### För mer information, kontakta:

Daniel Schale, kommunikationsdirektör  
+46 (0)46-275 62 21, [ir@neurovive.com](mailto:ir@neurovive.com)

# Pressmeddelande

NeuroVive Pharmaceutical AB (publ)  
556595-6538



## NeuroVive Pharmaceutical AB (publ)

Medicon Village, 223 81 Lund, Sverige

Tel: +46 (0)46 275 62 20 (växel)

info@neurovive.com, www.neurovive.com

### Om NVP015

En vanlig orsak till mitokondriell sjukdom är komplex I-dysfunktion, dvs att energiomsättningen i det första av de fem proteinkomplexen i mitokondrien som är väsentliga för effektiv energiomvandling inte fungerar normalt. Detta ses bland annat vid Leighs syndrom och MELAS, som båda är mycket allvarliga sjukdomar med symptom som muskelsvaghet, epilepsi och annan allvarlig neurologisk påverkan. Projektet NVP015 grundar sig på ett koncept framtaget av NeuroVives forskningschef Eskil Elmér och hans medarbetare som innebär att det kroppsegna energisubstratet bärnstenssyra (succinat) görs tillgängligt inne i cellen via en prodrogteknologi. En prodrog är ett inaktivt läkemedel som aktiveras först när det kommer in i kroppen genom att dess kemiska struktur förändras. Resultat från NVP015-projektet publicerades i augusti 2016 i den väl ansedda tidskriften Nature Communications<sup>1</sup>. NVP015-projektet är inriktat på att möjliggöra en systemisk terapi för att motverka akuta energikriser hos patienter med genetisk mitokondriell sjukdom. NeuroVive har fått anslag från Vinnovas Swelife 2017 för utvecklingen av NVP015 och bolaget samarbetar med Dr. Marni Falks forskningslaboratorium vid Children's Hospital of Philadelphia (CHOP) för att utvärdera NVP015-substanserna. Mitokondriell komplex I-dysfunktion kan även ses vid andra medicinska tillstånd och i oktober 2017 erhöll Dr. Kilbaugh, också vid CHOP, ett forskningsanslag från NIH-programmet Countermeasures Against Chemical Threats (CounterACT) för att studera användningen av NVP015 som en ny behandling vid kemiska hot.

### Om genetiska mitokondriella sjukdomar

Uppskattningsvis 12 personer per 100 000 har en genetisk mitokondriell sjukdom. Genetiska mitokondriella sjukdomar är medfödda ämnesomsättningssjukdomar som drabbar cellernas energiomsättning. Sjukdomarna kan yttra sig väldigt olika beroende på i vilka organ de genetiska defekterna finns och beskrivs som syndrom beroende på vilka organ som är drabbade och hur symptomen yttrar sig. Sjukdomarna debuterar ofta i tidiga barnår, exempelvis vid Leighs syndrom, en ovanlig genetisk neurometabolisk sjukdom som kännetecknas av degeneration av det centrala nervsystemet. Ett annat exempel på mitokondriell sjukdom är MELAS, som kan orsaka mitokondriell myopati, strokeliknande episoder och hjärnskada med epilepsi. Läkemedelskandidater från NeuroVives projekt för genetiska mitokondriella sjukdomar kan erhålla så kallad sär-läkemedelsklassificering i USA och Europa, vilket möjliggör en snabbare och mindre kostsam väg till marknaden, samt ett högre försäljningspris efter godkännande. Marknaden för sär-läkemedel uppgick 2016 till 114 miljarder dollar och den genomsnittliga årliga kostnaden för behandling av en enda patient uppskattades samma år till 140 443 dollar (cirka 1,3 miljoner svenska kronor).<sup>2</sup>

### Om NeuroVive

NeuroVive Pharmaceutical AB är ett ledande företag inom mitokondriell medicin, med ett projekt i klinisk fas II för behandling av måttlig till allvarlig traumatisk hjärnskada (NeuroSTAT<sup>®</sup>) och ett projekt i klinisk fas I (KL1333) för genetisk mitokondriell sjukdom. Forskningsportföljen omfattar ett flertal projekt i sen upptäcktsfas vilka spänner över områden som genetiska mitokondriella sjukdomar och cancer samt neurologiska och metabola sjukdomar såsom NASH. Bolagets strategi innefattar egen utveckling av läkemedel för sällsynta sjukdomar, genom den kliniska utvecklingsfasen hela vägen ut på marknaden. För de av bolagets projekt som riktar sig mot stora indikationer med hög potential är strategin utlicensiering i preklinisk fas. NeuroVive är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: NVP). Aktien finns även tillgänglig för handel i USA på marknadsplatsen OTCQX Best market (OTC: NEVPF).

1) Ehinger JK et al. (2016) Nat. Commun. 7:12317

2) Evaluate Pharma Orphan Drug Report 2017