



Pressmeddelande den 14 september 2020

Topline-resultat från fas IIb-studie visar en signifikant behandlingseffekt av Diamyd® i en tidigare identifierad genetisk subgrupp av individer med typ 1-diabetes

Diamyd Medical meddelar idag huvudresultaten från den placebokontrollerade fas IIb-studien DIAGNODE-2, där diabetesvaccinet Diamyd® (GAD-alum) givits direkt i lymfkörtel hos individer med nyligen diagnostiserad typ 1-diabetes. I linje med tidigare storskalig analys av studier som inbegripit subkutan administrering av Diamyd®, visar resultaten, totalt omfattande 109 patienter, en statistiskt signifikant effekt i den fördefinierade HLA (Human Leukocyte Antigen)-subgruppen av studiedeltagare. Specifikt visade denna studie ett bevarande av betacellfunktionen 15 månader efter diagnos, mätt genom måltidsstimulerad C-peptid. Den primära effektparametern, definierad som måltidsstimulerad C-peptid i hela försökspopulationen, nåddes inte. Inga relaterade allvarliga biverkningar har rapporterats i studien. Baserat på dessa resultat kommer Diamyd Medical att fokusera på HLA-subgruppen i en kommande pivotal fas III-program.

- Jag är väldigt glad och resultaten är logiska och hänger väl ihop med alla tidigare data, säger Ulf Hannelius, vd för Diamyd Medical. Med stöd av dessa goda resultat och den överlägsna säkerhetsprofilen kommer vi nu att gå vidare med ett fas III-program i denna patientpopulation, som representerar nära hälften av alla individer med typ 1-diabetes.

- Jag är överlycklig över de positiva resultaten, säger Johnny Ludvigsson, professor vid Linköpings universitet och huvudprövare för studien. Vad vi ser nu är att GAD-behandlingen fungerar för nästan hälften av patienterna med typ 1-diabetes. Det är viktigt att denna patientgrupp snart kan dra nytta av en effektiv, säker och enkel behandling som inte trycker ned immunförsvaret, särskilt i dessa COVID-19-tider.

103 av 109 patienter utvärderades som en del av huvudresultaten för det primära effektmåttet: bevarande av betacellfunktion vid 15 månader, definierad som måltidsstimulerad C-peptid. 55 individer av de 103 utvärderade patienterna fick aktiv behandling medan 48 fick placebobehandling. 46 av 103 utvärderade patienter var positiva för HLA-haplotype DR3-DQ2, en genetiskt fördefinierad patientsubgrupp som svarar väl på behandlingen identifierad baserat på data från tidigare studier med fokus på subkutan administrering av Diamyd®. Av de 46 patienterna fick 29 aktiv behandling och 17 fick placebo.

Medan en begränsad positiv men icke-signifikant behandlingseffekt observerades hos de 103 patienter som utvärderades som en del av huvudresultaten observerades en statistiskt signifikant ($p < 0,01$) behandlingseffekt i den fördefinierade undergrupp av patienter som var positiva för HLA DR3-DQ2. I denna undergrupp av patienter observerades mer än 50% högre bevarande av C-peptid hos de som fick aktiv behandling jämfört med placebo. På samma sätt observerades positiva trender hos patienter som var positiva för HLA DR3-DQ2 för alla viktiga sekundära effektmått; förändring av blodsockernivåerna mätt som HbA1c (ett viktigt mått på diabetes), insulindos och insulinjusterat HbA1c jämfört med placebobehandlade patienter. Ingen behandlingsfördel sågs hos patienter som var negativa för HLA DR3-DQ2.

-Under mina 37 år inom typ 1-diabetesforskning är det här något av de mest lovande resultat jag har sett vad gäller att möjligheten att komma till nytta för dem med nydiagnostiserad typ 1-diabetes, säger Mark Atkinson, Ph.D., chef för Diabetes Research Institute vid University of Florida och styrelseledamot i Diamyd Medical. Detta visar vikten av genetisk analys och individanpassad medicin i utvecklingen av behandlingar av typ 1-diabetes och kan förklara motstridiga resultat från tidigare studier inom området.

En kort presentation av resultaten kommer att hållas idag klockan 18:00, se länk <https://tv.streamfabriken.com/2020-09-14-press-conference> eller ring in ; SE +46 856642651 PIN: 20322624#, UK +44 3333000804 PIN: 20322624#, US +18558570686 PIN: 20322624#

På Torsdag den 17 september klockan 15:00 håller vd Ulf Hannelius, Professor Johnny Ludvigsson och Professor Mark Atkinson en webcast presentation av resultaten.

Om DIAGNODE-2

Den dubbelblindade, placebokontrollerade, europeiska fas IIb-studien DIAGNODE-2 omfattar 109 patienter i åldrarna 12–24 år från 18 kliniker i Spanien, Tjeckien, Sverige och Nederländerna. Patienterna som inkluderades i studien var nydebuterade typ-1 diabetiker som fått sin diagnos inom 6 månader från studiestart, samt hade en fastande C-peptid på $\geq 0,12$ nmol/l. Dessa patienter har med hjälp av ultraljud givits diabetesvaccinet Diamyd® (eller placebo) direkt i lymfkörtel vid tre tillfällen med en månads mellanrum. Studiedeltagarna har även givits tillskott av oralt D-vitamin (eller placebo) under fyra månader, intag av D-vitamin-tillskott påbörjades 30 dagar innan första injektion av Diamyd®. Patienterna har nu följts i 15 månader i syfte att utvärdera den egna kvarvarande förmågan att bilda insulin. Av de initialt 109 patienter som gick med i studien har 107 patienter fullföljt alla besök upp till 15 månader, vilket innebär att endast två patienter valt att avsluta studien i förtid. Av dessa 107 patienter har 103 patienter kunnat utvärderas statistiskt för det primära effektmålet. Fyra prover har inte kunnat analyserats då de kommit för sent till laboratoriet eller för att provtagningen inte kunnat genomföras på patienten. Av de 103 patienterna var 46 positiva för HLA-haplotypen DR3-DQ2. Från och med hösten 2019 erbjöds de patienter som då ännu inte genomfört sitt sista besök vid 15 månader att delta i en förlängning av studien i ytterligare 9 månader. 53 patienter tackade ja till att delta i förlängningen och 15 av dessa patienter har redan nu följts i 24 månader. Resultat från denna förlängda del av studien förväntas vara tillgängliga tredje kvartalet 2021. Koordinerande prövare för studien är professor Johnny Ludvigsson vid Linköpings universitet. Sponsor för studien är Diamyd Medical.

Om Diamyd Medical

Diamyd Medical utvecklar läkemedel mot typ 1-diabetes. Diabetesvaccinet Diamyd® är en antigenspecifik immunoterapi för bevarande av kroppens insulinproduktion. Bolagets europeiska fas IIb-studie DIAGNODE-2, där diabetesvaccinet administrerats direkt i lymfkörtel i barn och unga vuxna med nydiagnostiserad typ 1-diabetes har visat statistisk signifikant effekt i en genetiskt fördefinierad subgrupp i att bevara egen insulinproduktion vid 15 månader. En ny anläggning för vaccintillverkning inrättas nu i Umeå för tillverkning av rekombinant GAD65, den aktiva ingrediensen i det terapeutiska diabetesvaccinet Diamyd®. Diamyd Medical utvecklar även det GABA-baserade prövningsläkemedlet Remygen® för att återskapa kroppens insulinproduktion samt som ett läkemedel för att förebygga kraftigt sänkt blodsocker. En prövarinitierad Remygen®-studie med patienter som haft typ 1-diabetes i minst fem år pågår vid Uppsala Akademiska Sjukhus. Diamyd Medical är en av huvudägarna i stamcellsbolaget NextCell Pharma AB samt har ägarandelar i det medicintekniska bolaget Companion Medical, Inc., San Diego, USA.

Diamyd Medicals B-aktie handlas på Nasdaq First North Growth Market under kortnamnet DMYD B. FNCA Sweden AB är Bolagets Certified Adviser; tel: +46 8-528 00 399, e-mail: info@fnca.se.

För ytterligare information, kontakta:

Ulf Hannelius, vd

Tel: +46 736 35 42 41

E-post: ulf.hannelius@diamyd.com

Diamyd Medical AB (publ)

Kungsgatan 29, SE-111 56 Stockholm, Sverige. Tel: +46 8 661 00 26, Fax: +46 8 661 63 68

E-post: info@diamyd.com Org. nr: 556242–3797 Hemsida: <https://www.diamyd.com>

Denna information är sådan information som Diamyd Medical är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 14 september 2020 kl. 17:25.