



Pressmeddelande den 25 november 2014

Nytt koncept med diabetesvaccinet Diamyd[®] godkänt att testas i barn och ungdomar med typ 1-diabetes

Diamyd Medical (Nasdaq Stockholm First North: DMYD B) meddelar att ytterligare en ny forskarinitierad kombinationsstudie med diabetesvaccinet Diamyd[®] har godkänts av Läkemedelsverket. I studien ska Diamyd[®] kombineras med två andra preparat, D-vitamin och det immunosuppressiva läkemedlet etanercept. Det är den fjärde forskarinitierade kliniska studien med diabetesvaccinet Diamyd[®] som fått regulatoriskt godkännande under hösten. Sedan tidigare pågår två kliniska studier med diabetesvaccinet.

Det är första gången denna kombination av läkemedel testas mot den komplexa autoimmuna processen som orsakar typ 1-diabetes. Syftet med behandlingen är att bevara patienternas egen kvarvarande förmåga att bilda insulin genom att stoppa immunförsvarets attack på de insulinproducerande betacellerna. En bevarad förmåga att bilda eget insulin leder i sin tur till bättre blodsockerkontroll och minskad risk för både akuta och långsiktiga komplikationer av typ 1-diabetes.

– Diamyd[®] är idag den Antigen-Baserade Terapi som ligger längst fram i utvecklingen när det gäller att försöka bota typ 1-diabetes och vi satsar på att bli först ut på marknaden med en kombinationsbehandling, säger Anders Essen-Möller, styrelseordförande i Diamyd Medical.

Den nu godkända studien, som kallas EDCR IIa (Etanercept-Diamyd-Combination-Regimen), omfattar 20 barn och ungdomar mellan 8 och 18 år som nyligen diagnostiserats med typ 1-diabetes. Studien är öppen, vilket innebär att alla studiedeltagare kommer att få aktiv kombinationsbehandling. Studiens syfte är att utvärdera kombinationsbehandlingen D-vitamin, etanercept och diabetesvaccinet Diamyd[®] ur säkerhetssynpunkt samt hur immunsystemet påverkas. Etanercept är en så kallad TNF-alfa-hämmare som används vid reumatiska sjukdomar, och är till exempel godkänd för att behandla barn med juvenil idiopatisk artrit (JIA).

– Tanken är att etanercept ska trycka ner de delar av immunförsvaret som är aktiverat under den autoimmuna processen vid nydebuterad typ 1-diabetes, säger professor Johnny Ludvigsson vid Linköpings universitet, huvudprövare och sponsor för studien. Avsikten med detta och D-vitaminbehandlingen är att förbättra effekten av diabetesvaccinet och därmed bevara den egenproduktion av insulin som finns kvar. Detta är inte olikt den ursprungliga rationalen för Diamyd[®] som monoterapi, men nu utökad med viktiga förbättringar baserade på den kunskap som inhämtats från tidigare kliniska studier med diabetesvaccinet.

Diamyd[®] har visat en 16-procentig effekt (p=0,10) i en europeisk fas III-studie och en god säkerhetsprofil. Data från kliniska studier visar att Diamyd[®] aktiverar både komponenter som nedreglerar immunförsvaret och komponenter som ökar på inflammationen vid typ 1-diabetes. Genom att kombinera diabetesvaccinet med etanercept kan det inflammatoriska svaret minskas och diabetesvaccinets nedreglerande toleransinducerande effekt få större genomslag. D-vitamin avser i sin tur att ytterligare nedreglera immunsystemets inflammatoriska komponenter i syfte att förstärka

diabetesvaccinets effekt. Både D-vitamin och etanercept anses även ha en direktverkande positiv effekt på betacellerna.

Den nya studien kommer att genomföras vid flera barndiabeteskliniker i Sverige. Studiedeltagarna kommer först få behandling med D-vitamin och etanercept under en månad. Sedan ges två injektioner med Diamyd® med en månads mellanrum. Behandlingen med etanercept kommer att pågå under totalt 90 dagar och D-vitaminbehandlingen i 15 månader. En första utvärdering sker 6 månader efter att samtliga patienter inkluderats. Deltagarna kommer sedan att följas i ytterligare 24 månader.

Om diabetesvaccinet Diamyd®

Diamyd® är en så kallad Antigen-Baserad Terapi (ABT) som utvecklas med syftet att kunna förhindra, fördröja eller stoppa den autoimmuna attacken på betacellerna vid typ 1-diabetes och andra former av autoimmun diabetes och därmed bevara den egna förmågan att bilda insulin. Den aktiva substansen i diabetesvaccinet Diamyd® är GAD (Glutaminsyradekarboxylas isoform 65 kDa). GAD är ett av de viktigaste målen då immunsystemet angriper betacellerna vid autoimmun diabetes. GAD är därmed ett så kallat autoantigen. Behandling med Diamyd® syftar till att stoppa det autoimmuna angreppet mot betacellerna genom att inducera tolerans mot GAD. Diamyd® har använts i kliniska studier omfattande mer än tusen patienter och visat på en god säkerhetsprofil. Diamyd® är lätt att ge och kan ges på i princip alla sjukvårdsinrättningar.

Pågående utvecklingsarbete är inriktat på att i första hand förstärka effekten av behandlingen och ge diabetesvaccinet rätt förutsättningar att verka genom att kombinera Diamyd® med andra läkemedel och att sätta in behandling tidigare i sjukdomsprocessen. Nya angreppssätt utvärderas i flera kliniska studier tillsammans med olika forskargrupper. Idag pågår två forskarinitierade kliniska studier med Diamyd® och ytterligare fyra har nyligen fått regulatoriskt godkännande och är under uppstart. Studierna finansieras via forskningsanslag medan Diamyd Medical står för studieläkemedel och vissa andra kostnader samt har deltagit i designen av studierna och har möjlighet att utnyttja studieresultaten.

- **DIABGAD-1.** Blind, placebokontrollerad studie där Diamyd® testas i kombination med ibuprofen och D-vitamin. Studien omfattar 64 patienter mellan 10 och 18 år som nyligen insjuknat i typ 1-diabetes och kommer att pågå i totalt 30 månader. Studiens syfte är att testa om kombinationsbehandlingen kan bevara den egna kvarvarande förmågan att bilda insulin. Alla deltagare är inkluderade i studien och de första 6-månadersresultaten, med fokus på immunologiska markörer, beräknas kunna presenteras i början av 2015. Studien utförs i Sverige under ledning av professor Johnny Ludvigsson vid Linköpings universitet.
- **DIAPREV-IT.** Blind, placebokontrollerad studie där Diamyd® testas i barn med tidiga stadier av typ 1-diabetes, det vill säga de har konstaterats ha en pågående autoimmun process, men har ännu inte fått några kliniska symtom på diabetes. Studien omfattar 50 deltagare från 4 års ålder och kommer att pågå i totalt 5 år. Studiens syfte är att utvärdera om Diamyd® kan fördröja eller förhindra att deltagarna insjuknar i typ 1-diabetes. Studien utförs i Sverige under ledning av doktor Helena Elding Larsson vid Lunds universitet. Alla deltagare är inkluderade i studien och resultat väntas i slutet av 2016.
- **DIAMYD®/GABA.** Blind, placebokontrollerad studie där Diamyd® testas i kombination med GABA. Studien omfattar 75 patienter mellan 4 och 18 år som nyligen insjuknat i typ 1-diabetes och kommer att pågå i totalt 12 månader. Studiens syfte är att testa om kombinationsbehandlingen kan bevara den egna kvarvarande förmågan att bilda insulin. Studien utförs i USA under ledning av professor Kenneth McCormick vid University of Alabama at Birmingham och är under uppstart.

- **DIAPREV-IT 2.** Blind, placebokontrollerad studie där Diamyd[®] testas i kombination med D-vitamin i barn med tidiga stadier av typ 1-diabetes, det vill säga de har konstaterats ha en pågående autoimmun process, men har ännu inte fått några kliniska symtom på diabetes. Studien omfattar 80 deltagare mellan 4 och 18 år och kommer att pågå i totalt 5 år. Studiens syfte är att utvärdera om Diamyd[®] kan fördröja eller förhindra att deltagarna insjuknar i typ 1-diabetes. Studien utförs i Sverige under ledning av doktor Helena Elding Larsson och är under uppstart.
- **DIAGNODE.** Öppen studie där Diamyd[®] ges direkt i lymfkörtel i kombination med D-vitamin. Studien omfattar 5 patienter mellan 18 och 30 år som nyligen insjuknat i typ 1-diabetes och kommer att pågå i totalt 30 månader. Studiens syfte är att utvärdera säkerheten av kombinationsbehandlingen samt att utvärdera hur behandlingen påverkar immunsystemet och patienternas egen förmåga att bilda insulin. Studien utförs i Sverige under ledning av professor Johnny Ludvigsson och är under uppstart.
- **EDCR IIa.** Öppen studie där Diamyd[®] kombineras med etanercept och D-vitamin. Studien omfattar 20 patienter mellan 8 och 18 år som nyligen insjuknat i typ 1-diabetes och kommer att pågå i totalt 30 månader. Studiens syfte är att utvärdera säkerheten av kombinationsbehandlingen samt att utvärdera hur behandlingen påverkar immunsystemet och patienternas egen förmåga att bilda insulin. Studien utförs i Sverige under ledning av professor Johnny Ludvigsson och är under uppstart.

Om typ 1-diabetes

Typ 1-diabetes är en autoimmun form av diabetes där det egna immunförsvaret attackerar kroppens insulinproducerande betaceller. Genom analyser av markörer i blodet kan man identifiera personer där den autoimmuna processen pågår, men ännu inte gett upphov till kliniska symtom på diabetes. När kliniska symtom uppstår måste patienterna dagligen och för resten av livet behandlas med insulin för att överleva. Att finna ett botemedel är av stor vikt för världens hälsovårdssystem och för patienternas välbefinnande. Den årliga världsmarknaden för en fungerande behandling, som är enkel att ge, uppskattas till flera miljarder dollar.

Om Diamyd Medical

Diamyd Medical arbetar dedikerat för att förbättra situationen för patienter med autoimmun diabetes och för att bota sjukdomen. Diamyd Medicals projekt omfattar utveckling av kombinationsbehandling med det GAD-baserade diabetesvaccinet Diamyd[®] i syfte att stoppa den gradvisa förstörelsen av insulinproducerande betaceller. Diamyd Medical licensierar exklusiva intellektuella rättigheter till GAD-molekylen från University of California. En exklusiv licens med University of California föreligger även för användning av GABA vid diabetes och andra inflammationsrelaterade sjukdomar, bland annat metabolt syndrom och ledgångsreumatism.

Diamyd Medical har en andel om 46 procent i stamcellsbolaget Cellaviva AB som etablerar en svensk kommersiell bank för privat familjesparande av stamceller i navelsträngsblod och andra vävnader med stamceller. Stamceller väntas komma till användning inom området Personalized Regenerative Medicine (PRM), till exempel för att återskapa betacellsmassa i diabetespatienter där autoimmuniteten stoppats. Diamyd Medical har även en ägarandel om 10 procent i det medicintekniska bolaget Companion Medical, Inc., baserat i San Diego, USA., samt en mindre ägarandel och andra finansiella intressen i det amerikanska genterapibolaget Periphagen Holdings, Inc.

Remium Nordic AB är Bolagets Certified Adviser.

För ytterligare information, kontakta:

Anders Essen-Möller, ordförande, Diamyd Medical AB

Tel: +46 70 55 10 679. E-post: anders.essen-moller@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: www.diamyd.com.