

TiGenix kondigt aan dat Cx601 het statuut van weesgeneesmiddel in Zwitserland kreeg toegewezen

Leuven (BELGIË) – 17 oktober 2016, 07:00 uur CET – TiGenix NV (Euronext Brussels: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toespitst op de ontwikkeling en commercialisering van innovatieve therapieën uit haar eigen platforms van allogene geëxpandeerde stamcellen, heeft vandaag aangekondigd dat Cx601, haar belangrijkste kandidaat product dat wordt ontwikkeld voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn, in Zwitserland het statuut van weesgeneesmiddel kreeg toegewezen. Dit is de tweede keer dat het statuut van weesgeneesmiddel aan Cx601 wordt toegekend.

Ontwikkeld door TiGenix en recent in licentie gegeven aan Takeda Pharmaceutical Company Limited (“Takeda”) voor de exclusieve ontwikkeling en commercialisering buiten de VS, is Cx601 een suspensie van allogene uit vetweefsel verkregen stamcellen (allogeneic adipose-derived stem cells, eASC) die in de laesie worden geïnjecteerd voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn die onvoldoende respons vertonen op minstens één conventionele of biologische behandeling. De ziekte van Crohn is een chronische ontstekingsziekte van het maag-darmkanaal. Mensen die lijden aan de ziekte van Crohn hebben vaak complexe perianale fistels waarvoor er slechts beperkte behandelingsopties zijn.

Op 15 september 2016 ontving Takeda van het Zwitserse Agentschap voor therapeutische producten (Swissmedic) de status van weesgeneesmiddel met betrekking tot het aanvraagdossier voor Cx601, of eASC, uit vetweefsel verkregen stamcellen voor de zeldzame ziekte van anale fistels. Deze beslissing was gebaseerd op de erkenning van de aanwijzing als weesgeneesmiddel door de Europese Commissie in 2009, evenals op de ondersteunende gegevens verstrekt aan het agentschap, die het bewijs leverden van de kwaliteit, werkzaamheid en veiligheid, alsmede van de zeldzaamheid van de ziekte.

“De voorbereiding en het succes van dit dossier was een geweldige start van ons onlangs geformaliseerd samenwerkingsverband met Takeda en getuigt van de belangrijke medicinale waarde van Cx601 in een domein met een hoge onvervulde medische behoefte”, zegt Maria Pascual, Vice President Regulatory Affairs en Corporate Quality van TiGenix.

Het statuut van weesgeneesmiddel wordt toegekend aan geneesmiddelen of biologische middelen die worden onderzocht voor de behandeling van een zeldzame ziekte of aandoening. In Europa, waaronder Zwitserland, geldt dit voor ziekten die minder dan vijf personen op de 10.000 treffen. De aanwijzing als weesgeneesmiddel is ook een stimulans voor de sponsor, die de mogelijkheid van een geprioriteerde evaluatie door Swissmedic kan inhouden.

###

Voor verdere informatie

Claudia D'Augusta

Chief Financial Officer

T: +34 91 804 92 64

claudia.daugusta@tigenix.com

Over TiGenix

TiGenix NV (Euronext Brussel: TIG) is een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toespitst op de ontwikkeling en de commercialisering van innovatieve behandelingen op basis van haar eigen platformen van allogene, of van donors afkomstige, geëxpandeerde stamcellen. Twee producten uit het uit vetweefsel afgeleide stamceltechnologieplatform zijn momenteel in klinische ontwikkeling: Cx601 is in fase III voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn; Cx611 heeft een fase I-sepsisprovocatiestudie afgerond en een fase I/II-studie bij reumatoïde artritis. Met ingang van 31 juli 2015 heeft TiGenix Coretherapix overgenomen. Coretherapix' voornaamste cellulaire product, AlloCSC-01, is momenteel in een fase II klinische studie naar acuut myocardinfarct (AMI). Daarnaast wordt de tweede productkandidaat uit het op hartstamcellen gebaseerde platform dat via Coretherapix werd overgenomen, AlloCSC-02, ontwikkeld voor een chronische indicatie. Op 4 juli 2016 is TiGenix een licentieovereenkomst aangegaan met Takeda, een groot farmaceutisch bedrijf dat actief is in gastro-enterologie, waardoor Takeda de exclusieve rechten heeft verworven om Cx601 buiten de Verenigde Staten op de markt te brengen voor complexe perianale fistels. TiGenix heeft haar hoofdzetel in Leuven en heeft vestigingen in Madrid (Spanje). Voor meer informatie, ga naar <http://www.tigenix.com>

Over Cx601

Cx601 is een suspensie van allogene geëxpandeerde, uit vetweefsel verkregen stamcellen (expanded adipose stem cells, eASC) die lokaal wordt geïnjecteerd. Cx601 is een experimenteel middel dat wordt ontwikkeld voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn die onvoldoende respons vertonen op minstens één conventionele of biologische behandeling waaronder antibiotica, immunosuppressiva of anti-TNF-behandeling. De ziekte van Crohn is een chronische ontstekingsziekte van de darmen en patiënten kunnen lijden aan complexe perianale fistels waarvoor momenteel geen effectieve behandeling bestaat. In 2009 verleende de Europese Commissie erkenning aan Cx601 als weesgeneesmiddel voor de behandeling van anale fistels. Het erkende daarmee de gezondheidsondermijnende aard van de ziekte en het gebrek aan behandelingsopties. Cx601 heeft het primaire eindpunt gehaald in de fase III ADMIRE-CD studie bij patiënten met de ziekte van Crohn met complexe perianale fistels, een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde studie in Europa en Israël dat is opgezet om te voldoen aan de eisen die door het EMA zijn gesteld. 'Madrid Network' bood een zachte lening aan om te helpen deze fase III studie te financieren, dat werd gesponsord door de Staatssecretaris voor Onderzoek, Ontwikkeling en Innovatie (Ministerie van Economie en Concurrentievermogen) binnen het kader van het INNTEGRA-plan. Het primair eindpunt van de studie was gecombineerde remissie, die gedefinieerd was als de klinische beoordeling na 24 weken van het afsluiten van alle behandelde externe openingen die bij de uitgangswaarde drainage vertoonden ondanks voorzichtige compressie met een vinger, en geen collecties van > 2 cm, bevestigd door MRI. In ITT-populatie (n=212) bereikte Cx601 statistisch significante superioriteit ($p=0,024$) voor het primair eindpunt met 50% gecombineerde remissie na 24 weken vergeleken met 34% in de placebogroep. De doeltreffendheidsresultaten waren robuust en consistent in alle statistische populaties. Tijdens de behandeling optredende bijwerkingen (niet ernstige en ernstige) en stopzettingen vanwege bijwerkingen waren vergelijkbaar tussen de Cx601- en placebogroepen. De resultaten na 24 weken werden gepubliceerd in *The Lancet*, een van de meest gerenommeerde en bekendste medische tijdschriften ter wereld. De fase III studie heeft een opvolgingsanalyse bij 52 weken na de behandeling afgerond, waarbij het aangehouden doeltreffendheids- en veiligheidsprofiel werd bevestigd. Optimale follow-upgegevens toonden aan dat in de ITT-populatie Cx601 belangrijke statistische superioriteit bereikte ($p=0,012$) met 54% in gecombineerde remissie in week 52 in

vergelijking met 37% in de placebogroep. De gegevens na 52 weken toonden ook een hoger aantal aangehouden sluitingen bij patiënten behandeld met Cx601 en in gecombineerde remissie in week 24 (75,0%), in vergelijking met patiënten in de placebogroep (55,9%). Op basis van de positieve fase III studieresultaten na 24 weken heeft TiGenix in het begin van 2016 een vergunningaanvraag (Marketing Authorisation Application) bij het EMA ingediend. TiGenix bereidt zich voor om Cx601 te ontwikkelen in de V.S. na een overeenkomst te hebben bereikt met de FDA (Food and Drug Administration [Amerikaanse inspectie voor voedings- en geneesmiddelen]) door een Special Protocol Assessment (SPA) in 2015. Op 4 juli 2016 heeft TiGenix een licentieovereenkomst ondertekend met Takeda, een groot farmaceutisch bedrijf dat actief is in gastro-enterologie, waardoor Takeda de exclusieve rechten heeft verworven om Cx601 buiten de V.S. op de markt te brengen voor complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn.

Toekomstgerichte informatie

Dit persbericht kan toekomstgerichte informatie en schattingen bevatten over verwachte toekomstige prestaties van TiGenix en de markt waarin het bedrijf actief is. Bepaalde van deze beweringen, voorspellingen en schattingen kunnen herkend worden door gebruik van woorden zoals, niet beperkt tot, “denkt”, “plant”, “verwacht”, “is van plan”, “probeert”, “schat”, “kan”, “zal” and “voortzetten” en gelijkaardige uitdrukkingen. Al deze vertegenwoordigen zaken die geen historische feiten zijn. Dergelijke beweringen, voorspellingen en schattingen zijn gebaseerd op verschillende veronderstellingen en beoordelingen van gekende en niet-gekende risico's, onzekerheden en andere factoren, die werden beschouwd als redelijk wanneer deze werden gemaakt, maar al dan niet juist kunnen zijn. Werkelijke gebeurtenissen zijn moeilijk te voorspellen en kunnen afhankelijk zijn van factoren die buiten controle van het bedrijf liggen. Daarom kunnen de werkelijke resultaten, de financiële toestand, de prestatie of successen van TiGenix, of resultaten van de sector, aanzienlijk afwijken van toekomstige resultaten, prestaties of successen die worden uitgedrukt of afgeleid in dergelijke beweringen, voorspellingen en schattingen. Gezien deze onzekerheden, kan men geen verhaal halen over de juistheid of redelijkheid van dergelijke toekomstgerichte verklaringen, voorspellingen en schattingen. Bovendien spreken toekomstgerichte verklaringen, voorspellingen en schattingen slechts vanaf de datum van publicatie van dit persbericht. TiGenix verwerpt elke verplichting om dergelijke toekomstgerichte verklaring, voorspelling of schatting aan te passen ter weergave van eventuele veranderingen in de verwachtingen van het bedrijf hieromtrent, of eventuele wijziging in het verloop van de gebeurtenissen, voorwaarden of omstandigheden waarop een dergelijke verklaring, voorspelling of schatting is gebaseerd, behalve voor zover bij Belgische wetgeving verplicht.