

TiGenix kondigt top-line fase I/II resultaten aan van AlloCSC-01 bij acuut myocardinfarct

Leuven (BELGIË) – 13 maart 2017, 07.00 uur CET – TiGenix NV (Euronext Brussels en Nasdaq: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toespitst op de ontwikkeling van innovatieve behandelingen op basis van haar twee interne platformen van donoren afgeleide geëxpandeerde uit vetweefsel verkregen stamcellen (eASC) en van donoren afgeleide geëxpandeerde hartstamcellen (AlloCSC), kondigt vandaag de top-line één-jaar resultaten aan van de CAREMI klinische studie, een verkennende fase I/II-studie met AlloCSC's voor acuut myocardinfarct (AMI).

CAREMI is de eerste klinische studie bij de mens met als primaire doelstelling de veiligheid en de evaluatie van de haalbaarheid van een intracoronaire infusie van 35 miljoen AlloCSC's bij patiënten met AMI en links ventriculaire disfunctie die behandeld worden binnen de eerste week na het AMI. Belangrijk is dat het onderzoek de eerste hartstamcelstudie met integratie van een hoog discriminerende magnetische resonantiebeeldvormingsstrategie (magnetic resonance imaging, MRI) om patiënten te selecteren met een verhoogd risico op hartfalen en laattijdige ongunstige diagnose. De opdracht van CAREMI was niet om de doeltreffendheid te bepalen, waardoor geen conclusies over de secundaire doeltreffendheidseindpunten konden getrokken worden.

De belangrijkste resultaten van deze studie zijn de volgende:

- Alle veiligheidsdoelstellingen van de studie werden bereikt. Er werden geen mortaliteit of ernstige acute coronaire bijwerkingen (major adverse coronary events, MACE's) waargenomen na 30 dagen waarmee het primaire eindpunt van de studie werd bereikt. Bovendien werden ook geen mortaliteit en MACE waargenomen na zes maanden of na twaalf maanden.
- Bijzonder belangrijk voor deze allogene benadering is dat er na één jaar geen immuun-gerelateerde ongunstige bijwerkingen werden opgetekend.
- Een sterkere daling van het aantal infarcten werd vastgesteld bij één vooraf gespecificeerde subgroep met slechte vooruitzichten op lange termijn, die meer dan de helft van de patiëntenpopulatie van de randomisatiefase van de studie uitmaakt. Deze bevinding heeft een waardevol inzicht verschaft en biedt een specifieke richting voor potentiële studies bij een welbepaalde subgroep van patiënten met een hoog risico.

"Dit is de eerste studie die aantoont dat allogene hartstamcellen veilig kunnen worden getransplanteerd via de coronaire boom, en in de slechtst mogelijke scenario's van patiënten met een acute hartaanval met links ventriculaire disfunctie," zei professor Fernández-Avilés, hoofd van de afdeling Cardiologie van het Hospital General Universitario Gregorio Marañón in Madrid (Spanje), hoofdonderzoeker van de studie in Spanje. "Het is bijzonder hoopgevend dat geen enkele cardiale of immunologische neveneffecten werden waargenomen."

"Dit is de eerste studie waarbij we gebruik hebben gemaakt van een state of the art allesomvattende MRI-analyse om ook patiënten met een groot myocardinfarct op te nemen in een vernieuwend celtherapieprotocol," aldus professor Janssens, hoofd van de afdeling Hart- en Vaatziekten, Universitair Ziekenhuis Leuven (België), hoofdonderzoeker van de studie in België. "Serieële MRI-analyse en uitgebreide immunologische profilering zullen ons in staat stellen de bemoedigende signalen die we hebben waargenomen bij celbehandelde patiënten met de slechtste MRI-signatuur

verder te onderzoeken. Deze bevindingen bieden interessante vooruitzichten voor doelgerichte vervolgstudies bij deze hoogrisicopatiënten."

"Naast het feit dat de veiligheid op lange termijn van de behandeling bevestigd wordt, verschaffen deze resultaten interessante mogelijkheden bij populaties met een hoge onbeantwoorde klinische behoefte," zei dr. Marie Paule Richard, Chief Medical Officer bij TiGenix. "We kijken ernaar uit om samen te werken met onze adviseurs om de gegevens te analyseren en de beste weg voorwaarts te bepalen voor AlloCSC-01 in de tweede helft van dit jaar."

De volledige resultaten van de CAREMI-studie zullen worden voorgesteld op een volgend medisch congres.

###

Voor meer 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. Onze belangrijkste productkandidaat uit het uit vetweefsel verkregen stamcel technologieplatform is Cx601, dat is aangemeld bij het Europees Geneesmiddelenbureau voor de behandeling van complexe perianale fistels bij de ziekte van Crohn. Ons uit vetweefsel verkregen stamcel productkandidaat Cx611 heeft een fase I-sepsisprovocatiestudie afgerond en een fase I/II-onderzoek bij reumatoïde artritis. Op 31 juli 2015 ging de overname van Coretherapix door TiGenix van kracht. De voornaamste cellulaire productkandidaat van Coretherapix, AlloCSC-01, heeft momenteel een fase II klinisch onderzoek naar acuut myocardinfarct (AMI) besloten. 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).

Over CAREMI

De CAREMI-studie omvat twee opeenvolgende fases: een open-label dosis-escalatiefase (n=6) en een 2:1 gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde fase (n=49). De bedoeling van deze klinische studie is om de veiligheid en werkzaamheid van AlloCSC-01 (product van hartstamcellen) te evalueren in de acute fase van ischemische hartziekte. Het primaire eindpunt van de fase I-CAREMI-studie is de mortaliteit door alle oorzaken binnen 30 dagen en alle bijwerkingen van om het even welke oorzaak, vanaf de opname van de patiënt in de studie tot 7 dagen na het toedienen van de behandeling. De secundaire eindpunten voor deze dosis-escalatiefase omvatten MRI-werkzaamheidsparameters (evolutie van de infarctgrootte en evolutie van de biomechanische parameters), klinische parameters (inclusief de 6 minuten-wandeltest en de schaal van de 'New York Heart Association') en de veiligheid (alle bijwerkingen binnen de 30 dagen, daarna maandelijks tot 6 maanden en vervolgens driemaandelijks na het toedienen van AlloCSC-01, mortaliteit door alle oorzaken en overlijden door een cardiovasculaire oorzaak op 12 maanden, en MACE vastgesteld op 6 en 12 maanden). De studie wordt uitgevoerd in Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Madrid, UZ Leuven, Hospital de Navarra, Hospital Clínico Universitario de Valladolid, Hospital Universitario de Donostia, Hospital Universitario de Salamanca, Hospital Clínico Universitario de Valencia, en Hospital Virgen de la Victoria de Málaga. De CAREMI-studie werd ondersteund door

het CARE-MI-consortium (beursnummer 242038), gefinancierd door het Zevende Kaderprogramma van de Europese Commissie dat wordt gecoördineerd door het 'Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares' (CNIC) en met de medewerking van onderzoeksinstituten en bedrijven uit negen EU-landen.

Over AlloCSC-01

AlloCSC-01 is een cellulair product dat bestaat uit allogene volwassen hartstamcellen die geïsoleerd werden uit de rechterharttoortjes van donoren en die in vitro werden geëxpandeerd. Preklinische gegevens wezen op de sterke hartbeschermende en immuunregulerende activiteit van AlloCSC-01. In vivo-studies suggereren dat AlloCSC-01 een mogelijk hartherstellende activiteit heeft door het activeren van endogene regeneratieve processen en door het bevorderen van de vorming van nieuw hartweefsel. Bovendien heeft AlloCSC-01 een sterk tropisme voor het hart dat een sterke retentie van cellen in de hartspier mogelijk maakt na intracoronaire toediening. AlloCSC-01 zit momenteel in de klinische ontwikkelingsfase in een klinische studie van fase I/II (CAREMI).

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" en "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.