

Europees Geneesmiddelenbureau aanvaardt het plan voor pediatrisch onderzoek van TiGenix voor Cx601

Leuven (BELGIË) – 8 september 2014 – TiGenix NV (Euronext Brussel: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf gespecialiseerd in de ontwikkeling en commercialisering van innovatieve behandelingen op basis van zijn interne platform van allogene, geëxpandeerde, van vet afgeleide stamcellen of eASC's voor ontstekings- en auto-immuunziekten, kondigde vandaag aan dat het Comité Pediatrie van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) een gunstig advies heeft afgeleverd over het plan voor pediatrisch onderzoek (PIP, Paediatric Investigation Plan) voor Cx601, een stamcelproduct voor lokale injectie in klinische ontwikkelingsfase III voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn.

Een aanvaard PIP is een vereiste voor het indienen van een aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van een nieuw geneesmiddel bij het EMA. Het beschrijft hoe een bedrijf het gebruik van het nieuwe product bij kinderen wil evalueren. Na voltooiing van het PIP krijgt het bedrijf zes maanden bijkomende patentexclusiviteit voor het product. Cx601 kreeg in 2009 van het EMA de status van weesgeneesmiddel, waardoor het tien jaar marktexclusiviteit krijgt vanaf de datum van de vergunning voor het in de handel brengen.

Het PIP voor Cx601 bestaat uit een open-label, multicentrische, niet-vergelijkende studie voor de evaluatie van de activiteit van Cx601 voor de behandeling van complexe anale fistels bij ten minste 20 patiënten van 4-17 jaar oud met de ziekte van Crohn. In de studie zullen de werkzaamheid en de veiligheid geëvalueerd worden. Het primaire eindpunt is de remissie van de ziekte van Crohn met perianale fistels op week 24, gedefinieerd als de sluiting van alle uitwendige openingen die bij het begin van de studie open waren. Er is een follow-upperiode van één jaar voorzien.

"We zijn blij met het gunstige advies van het EMA over ons PIP voor Cx601. Het stelt ons in staat om de volgende stap te zetten in de aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Cx601 in de eerste helft van 2016", aldus Maria Pascual, VP Regulatory Affairs and Corporate Quality bij TiGenix. "Voortbouwend op het sterke ontwikkelingsprogramma bij volwassenen en de gegevens die zullen worden verzameld in de postmarketingfase is een zeer gerichte studie overeengekomen met Geneesmiddelenbureau. De studie gaat pas van start in 2020, drie jaar na onze geplande lancering van Cx601 in 2017."

Voor meer informatie

Richard Simpson
Senior Consultant, Comfi bvba
T: +32 494 578 278
richard@comfi.be

Over Cx601

Cx601 is een suspensie van allogene geëxpandeerde van vetweefsel afgeleide stamcellen (eASC's) die lokaal worden toegediend via een intralesionale injectie. Cx601 wordt ontwikkeld voor de behandeling van peri-anale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. De ziekte van Crohn is een chronische darmontsteking waarbij patiënten complexe peri-anale fistels kunnen krijgen waarvoor momenteel geen doeltreffende behandeling bestaat. In 2009 werd Cx601 door de Europese Commissie erkend als weesgeneesmiddel voor de behandeling van anale fistels en erkende zo de slopende aard van de ziekte evenals het gebrek aan behandelingsopties. In een fase II klinische studie toonde Cx601 doeltreffendheid na 24 weken voor 56% van de behandelde fistels, wat twee

keer meer is dan de huidige standaard (TNF-remmers). De doeltreffendheid werd gemeten als de volledige sluiting en re-epithelisatie van de fistels die werden behandeld met afwezigheid van drainage. Daarnaast vertoonde 69,2% van de patiënten een vermindering in het aantal aanvankelijke drainagekanalen. De studie bevestigde ook de veiligheid van het gebruik van allogene stamcellen voor de behandeling van peri-anale fistels. Op basis van deze resultaten vroeg TiGenix het wetenschappelijk advies van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) over de toekomstige ontwikkeling van Cx601. TiGenix startte daarop met een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde fase III-studie in Europa en Israël (278 gerekruteerde patiënten, 8 landen, 52 centra) ontworpen om te voldoen aan de vereisten opgelegd door de EMA. Deze pivotale studie is bedoeld om de Europese vergunning voor het in de handel brengen te kunnen aanvragen en moet ook als belangrijke ondersteunende studie kunnen dienen voor de goedkeuring in andere gebieden, met inbegrip van de VS. Het primaire eindpunt van de studie is de remissie van de fistelaandoening, gedefinieerd als 100% genezing. De studie heeft een eerste volledige analyse van de resultaten na 24 weken met daarna een verdere analyse 52 weken na de behandeling. De evaluatie van de genezing omvat zowel een klinische beoordeling als bevestiging via MRI (geen abcessen van groter dan 2 cm²). De klinische fase III-studie begon met het rekruteren van patiënten midden 2012 en het rekruteren van de volledige steekproef van patiënten zal naar verwachting in de loop van 2014 voltooid zijn. Het eerste klinische rapport wordt verwacht in het derde kwartaal van 2015. Bij positieve resultaten wil TiGenix een aanvraag tot vergunning voor het in de handel brengen indienen bij EMA in het begin van 2016 zodat een beslissing van de Europese Commissie kan worden verwacht tegen het einde van 2016. TiGenix bereidt momenteel de ontwikkeling van Cx601 voor de Amerikaanse markt voor. De onderneming heeft de intentie om een contractuele productieorganisatie (CMO) in de VS aan te stellen met wie het dan de technologie-overdracht wil starten om Cx601 in de VS te kunnen produceren. De onderneming zal een Special Protocol Assessment (SPA) aanvragen bij de FDA om zich ervan te vergewissen dat de opzet van een nieuwe fase III-studie, uit te voeren in de US, overeenkomt met de vereisten van het agentschap voor de toekomstige goedkeuring van Cx601.

Over TiGenix

TiGenix NV (Euronext Brussel: TIG) is een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf gespecialiseerd in de ontwikkeling en commercialisering van innovatieve behandelingen op basis van zijn interne platform van allogene, of van donoren afgeleide, geëxpandeerde, van vet afgeleide stamcellen of eASC's voor ontstekings- en auto-immuunziekten. Momenteel zitten twee producten van dit technologieplatform in de klinische ontwikkelingsfase. Cx601 zit in fase III voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. Cx611 zit in fase IIb voor vroege reumatoïde artritis en in fase Ib voor ernstige sepsis. TiGenix heeft tevens ChondroCelect ontwikkeld, een autoloog celtherapieproduct voor het herstel van kraakbeenletsels in de knie en het eerste geneesmiddel voor geavanceerde therapie (Advanced Therapy Medicinal Product of ATMP) dat werd goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Sinds juni 2014 heeft Sobi de exclusieve marketing- en distributierechten voor ChondroCelect voor de Europese Unie (behalve Finland, waar het wordt verdeeld door Finnish Red Cross Blood Service), Noorwegen, Rusland, Zwitserland en Turkije, en de landen van het Midden-Oosten en Noord-Afrika. De hoofdzetel van TiGenix is gevestigd in Leuven (België) en het bedrijf heeft tevens activiteiten in Madrid (Spanje). Meer informatie is beschikbaar op www.tigenix.com

Toekomstgerichte informatie

Dit document kan vooruitziende verklaringen en schattingen bevatten met betrekking tot de verwachte toekomstige prestaties van TiGenix en de markt waarin het bedrijf actief is. Enkele van deze verklaringen, voorspellingen en inschattingen kunnen herkend worden aan de hand van bepaalde bewoordingen zoals 'geloof', 'verwacht', 'neemt zich voor', 'plant', 'streeft na', 'raamt', 'kan misschien', 'zal', 'blijft', en andere vergelijkbare uitdrukkingen. Deze gaan over zaken die geen historische feiten zijn. Zulke verklaringen, voorspellingen en schattingen steunen op verschillende veronderstellingen en beoordelingen van bekende en onbekende risico's, onzekerheden en andere factoren, die redelijk geacht werden toen ze gemaakt werden, maar die achteraf ook onjuist kunnen blijken te zijn. Werkelijke gebeurtenissen zijn moeilijk te voorspellen en kunnen het gevolg zijn van factoren waarop TiGenix geen vat heeft. Bijgevolg kunnen de werkelijke resultaten, financiële toestand, prestaties of verwezenlijkingen van TiGenix of van de sector aanzienlijk verschillen van de

toekomstige resultaten, prestaties of verwezenlijkingen waarvan in deze verklaringen en schattingen expliciet of impliciet gewag wordt gemaakt. Vanwege deze onzekerheden kan er geen garantie gegeven worden met betrekking tot de nauwkeurigheid of redelijkheid van die vooruitziende verklaringen, voorspellingen en schattingen. Daarenboven zijn toekomstgerichte verklaringen, voorspellingen en schattingen slechts geldig vanaf de publicatiedatum van dit document. TiGenix wijst elke verplichting af om alle vooruitziende verklaringen, voorspellingen of schattingen te actualiseren om eventuele wijzigingen te weerspiegelen in de verwachtingen van TiGenix of veranderingen van gebeurtenissen of omstandigheden waarop zulke verklaringen, voorspellingen of schattingen steunen, behalve als dat verplicht is door de Belgische wetgeving.