

TiGenix dient studieopzet van zijn pivotale Amerikaanse studie voor Cx601 in bij de FDA voor een Special Protocol Assessment

Leuven (BELGIË) – 22 december 2014 – TiGenix NV (Euronext Brussels: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf gespecialiseerd in de ontwikkeling en commercialisering van innovatieve behandelingen op basis van zijn interne platform van allogene, geëxpandeerde, uit vetweefsel verkregen stamcellen voor ontstekings- en auto-immuunziekten, kondigde vandaag aan dat het de vereiste documentatie voor een Special Protocol Assessment (SPA) van het opzet van zijn pivotale fase III-studie voor Cx601 in de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn in de Verenigde Staten heeft ingediend bij de Food and Drug Administration (FDA). Een overeenkomst met de FDA over de SPA zal ervoor zorgen dat het studieopzet in lijn is met de vereisten van de FDA voor de toekomstige goedkeuring van Cx601.

Het opzet van de geplande Amerikaanse studie is vergelijkbaar met dat van de in Europa lopende fase III-studie, waarvan de resultaten worden verwacht in het derde kwartaal van 2015. Het protocol voor het Amerikaanse studieopzet is gebaseerd op richtlijnen van zowel de FDA als de Amerikaanse Scientific Advisory Board van de onderneming, die bestaat uit zes toonaangevende Noord-Amerikaanse klinische experts in de gastro-enterologie en ontstekingsziekten van de darmen.

De gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde fase III-studie in de VS wordt opgezet om de werkzaamheid en veiligheid van Cx601 te bevestigen in de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. In de studie zullen ongeveer 180 patiënten worden opgenomen en het primaire eindpunt is de remissie van de fistelaandoening, gedefinieerd als 100 % genezing van de fistels. De eerste volledige analyse van de resultaten zal gebeuren op 24 weken, met een follow-up analyse op 52 weken na de behandeling.

Zoals besproken met de FDA wil TiGenix de gegevens van zowel de fase III-studie in Europa als deze van de fase III-studie in de VS gebruiken als basis voor de eventuele indiening van een Biologics License Application (BLA). Na voltooiing van het SPA-nazichtproces en van de technologieoverdracht van zijn celproductieproces aan een contract-productieorganisatie (CMO) in de VS zal TiGenix zijn aanvraag voor een investigational new drug (IND) voor deze fase III-studie indienen bij de FDA.

"Dit is alweer een belangrijke mijlpaal, bereikt volgens plan, om de goedkeuring van Cx601 voor te bereiden in de Verenigde Staten, de grootste markt voor gezondheidszorg in de wereld", zei María Pascual, VP Regulatory Affairs and Corporate Quality bij TiGenix. "Dankzij het nieuwe werkingsmechanisme van het product in de behandeling van perianale fistels, en het geavanceerde stadium van klinische ontwikkeling in Europa, kan Cx601 in de VS meteen overgaan naar fase III. Daardoor zal het product sneller tot bij patiënten met de ziekte van Crohn in de VS kunnen worden gebracht en wordt ook de financiële last kleiner."

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 uit vetweefsel verkregen stamcellen (eASC's) die lokaal worden toegediend via een intralesionale injectie. Cx601 wordt ontwikkeld voor de behandeling van perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. De ziekte van Crohn is een chronische darmontsteking waarbij patiënten complexe perianale 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 perianale 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 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 rekrutering van de volledige steekproef van patiënten was voltooid in het vierde kwartaal van 2014. 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 het EMA in het begin van 2016. TiGenix bereidt momenteel de ontwikkeling van Cx601 voor de Amerikaanse markt voor. De onderneming heeft een Special Protocol Assessment (SPA) aangevraagd bij de Food and Drug Administration (FDA) om zich ervan te vergewissen dat het opzet van een nieuwe fase III-studie, uit te voeren in de VS, overeenkomt met de vereisten van de FDA voor de toekomstige goedkeuring van Cx601. De onderneming heeft de intentie om een contract-productieorganisatie (CMO) in de VS aan te stellen met wie het dan de technologieoverdracht wil starten om Cx601 in de VS te kunnen produceren.

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, uit vetweefsel verkregen 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); het bedrijf heeft tevens activiteiten in Madrid (Spanje). Meer informatie is beschikbaar op www.tigenix.com

Toekomstgerichte informatie

Dit document kan toekomstgerichte 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 'geloofd', '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.