

TiGenix verkrijgt FDA akkoord via Special Protocol Assessment voor zijn Cx601 fase III-registratiestudie in de VS

Leuven (BELGIË) – 7 augustus 2015 – 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 stamcellen, kondigde vandaag aan dat het een overeenkomst heeft bereikt met de U.S. Food and Drug Administration (FDA) over een Special Protocol Assessment (SPA) voor zijn fase III-registratiestudie voor Cx601 in de VS voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn.

"We zijn erg blij met het akkoord van de FDA met het klinisch opzet en de geplande analyse van onze studie, aangezien het een duidelijk bepaalde procedure uitmaakt voor de ontwikkeling en regelgeving die we moeten volgen voor de goedkeuring van Cx601 in de VS", zegt Dr. Maria Pascual, VP Regulatory Affairs & Corporate Quality bij TiGenix. "Cx601 biedt een nieuw werkingsmechanisme om perianale fistels te behandelen, waarvoor nog steeds geen remedie bestaat. In de VS alleen al wachten er elk jaar meer dan 50.000 nieuwe patiënten op een efficiënte behandeling voor deze slopende ziekte".

De overeengekomen spijlstudie is een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde multicentrische studie met parallelgroepen van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. In de studie zullen ongeveer 224 patiënten worden opgenomen om de werkzaamheid en veiligheid van Cx601 te evalueren 24 en 52 weken nadat het product in een enkele dosis is toegediend. In de SPA wordt het primaire eindpunt beschreven als gecombineerde remissie, wat wordt gedefinieerd als klinische beoordeling tegen week 24 van het sluiten van alle behandelde uitwendige openingen die lekten bij aanvang van de studie ondanks lichte compressie, en afwezigheid van abscessen > 2cm bevestigd op MRI. Dit primaire eindpunt ligt in lijn met dat van de Europese fase III-studie, waarvan de resultaten later dit kwartaal worden verwacht. Het bedrijf verwacht de productietechnologieoverdracht naar zijn in de VS gebaseerde contractuele productieorganisatie, Lonza, af te ronden, en daarna zijn fase III-studie van Cx601 in de VS te beginnen, in de tweede helft van 2016.

Voor meer informatie:

Ana Pombo Rose
Strategic Planning and IR Manager
ana.pombo@tigenix.com
Tel. + 34 91 804 92 64

Over Special Protocol Assessments

Een Special Protocol Assessment (SPA) is een schriftelijke overeenkomst tussen een sponsor en de Amerikaanse FDA over het opzet, de uitvoering en de analyse van een studie die nodig is om de goedkeuring van een product door de FDA te ondersteunen. Het is bedoeld als de basis voor de aanvraag om een product in de handel te brengen. Voor meer informatie over een SPA, raadpleeg <http://1.usa.gov/1w2ODoJ>

Over Cx601

Cx601 is een suspensie van allogene geëxpandeerde uit vetweefsel verkregen stamcellen ('eASCs') 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, waarmee de slopende aard van de ziekte evenals het gebrek aan behandelingsopties werden erkend. In een klinische studie van fase II werd de doeltreffendheid van Cx601 aangetoond na 24 weken voor 56% van de behandelde fistelkanalen, wat meer dan twee keer hoger is dan voor de huidige standaardbehandeling (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 wetenschappelijke 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 het EMA. 'Madrid Network', een organisatie binnen de Autonome Regio Madrid die ondernemingen helpt groeien via hoogtechnologische innovatie, verstrekte een "zachte lening" ("soft loan") om deze fase III-studie te helpen financieren. Het programma wordt gefinancierd door de Staatssecretaris voor Onderzoek, Ontwikkeling en Innovatie (Ministerie van Economie en Competitiviteit) in het kader van het INNTEGRA-plan. 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 gecombineerde remissie, wat wordt gedefinieerd als klinische beoordeling tegen week 24 van het sluiten van alle behandelde uitwendige openingen die lekten bij aanvang van de studie, ondanks lichte vingercompressie, en afwezigheid van abscessen > 2cm, bevestigd op MRI. De studie omvat een eerste volledige analyse van de resultaten na 24 weken met daarna een verdere analyse 52 weken na de behandeling. 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.

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 stamcellen. Momenteel zitten twee producten van het technologieplatform op basis van uit vetweefsel verkregen stamcellen 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 II voor vroege reumatoïde artritis en heeft een fase I sepsisprovocatiestudie afgerond. Met ingang van 31 juli 2015 heeft TiGenix Coretherapix overgenomen. Coretherapix' belangrijkste celproduct (AlloCSC-01) bevindt zich momenteel in een klinische studie van fase II voor acuut myocardinfarct (AMI). Coretherapix is van plan om AlloCSC-01 tevens in een chronische setting klinisch te testen en is ook betrokken bij de preklinische ontwikkeling van een farmaceutische formulering van groeifactoren om AMI te behandelen. Tot slot heeft TiGenix 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 '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.