

TiGenix maakt bekend dat Cx601 voldoet aan primair eindpunt in fase III pivotale studie

- Eén enkele injectie met Cx601 was statistisch superieur ten opzichte van placebo bij het verkrijgen van een gecombineerde remissie in week 24 van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn die onvoldoende reageerden op vorige therapieën, met inbegrip van anti-TNF
- Meer dan 50% van de patiënten die behandeld werden met Cx601 bereikten de gecombineerde remissie in week 24
- Bij een groter aantal van de met Cx601 behandelde patiënten waren de fistels tegen week 6 gesloten
- De resultaten bevestigen het gunstige veiligheids- en tolerantieprofiel van Cx601
- Dankzij deze positieve data kan het Europees dossier in het eerste kwartaal van 2016 worden ingediend en kan men in de VS verder met de SPA¹ goedgekeurde pivotale studie

Leuven (BELGIË) – 23 augustus 2015 – TiGenix NV (Euronext Brussels: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich richt op het ontwikkelen en op de markt brengen van vernieuwende therapeutische middelen op basis van de eigen platformen van allogene geëxpandeerde stamcellen, maakte vandaag bekend dat zijn voornaamste product Cx601 voldeed aan het primaire eindpunt in de fase III-studie ADMIRE-CD bij patiënten met de ziekte van Crohn met complexe perianale fistels. Cx601 is een suspensie van allogene geëxpandeerde adipose-afgeleide stamcellen (eASC) die worden toegediend via intralesionale injectie. Eén enkele injectie met Cx601 was statistisch superieur ten opzichte van placebo bij het verkrijgen van een gecombineerde remissie in week 24 bij patiënten die onvoldoende reageerden op vorige therapieën, met inbegrip van anti-TNF. Het onderzoek bevestigt het gunstige veiligheids- en tolerantieprofiel van Cx601.

ADMIRE-CD is een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde fase III-studie die bedoeld is om de doeltreffendheid en veiligheid te bevestigen van één injectie met Cx601 in de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. In het totaal werden 289 patiënten gerekruteerd in 50 actieve centra in 7 Europese landen en Israël. De opgenomen patiënten vertoonden een onvoldoende reactie op eerdere behandelingen, met inbegrip van anti-TNF. De gewone medische verzorging mocht tijdens de duur van de studie voor beide groepen behouden blijven. Het primaire eindpunt van de studie was gecombineerde remissie in week 24, gedefinieerd als het sluiten van alle behandelde externe openingen, ondanks lichte druk met de vinger, die tijdens het baseline-onderzoek lekten, en de afwezigheid van opstapelingen van meer dan 2 cm, bevestigd door MRI².

Bij de ITT³-populatie (n=212) vertoonde Cx601 een statistisch significante superioriteit (p<0.025) met 49.5% gecombineerde remissie in week 24 in vergelijking met 34.3% bij de placebogroep. Bij de

¹ SPA: Special Protocol Assessment

² MRI: Magnetic Resonance Imaging

³ ITT: Intention To Treat d.w.z. gerandomiseerde patiënten

mITT⁴-populatie (n=204) bedroegen de cijfers voor gecombineerde remissie in week 24 respectievelijk 51.5% en 35.6% voor Cx601 en placebo ($p < 0.025$). Deze resultaten leiden tot een waargenomen relatief risico van 1,44, wat betekent dat patiënten die Cx601 kregen 44% meer kans hadden op gecombineerde remissie dan patiënten die een placebo kregen. De doeltreffendheidsresultaten waren solide en consistent binnen alle statistische populaties.

Negatieve bijwerkingen van de behandeling (ernstige en niet ernstige) en de stopzetting door de bijwerkingen waren vergelijkbaar tussen Cx601 en de placebogroep.

"We zijn bijzonder verheugd met de resultaten van Cx601 voor deze slopende en moeilijk te behandelen aandoening. Meer dan 50% gecombineerde remissie bereiken bij patiënten die niet voldoende reageerden op eerdere behandelingen, met inbegrip van anti-TNF, is een opmerkelijke prestatie", aldus Dr Marie Paule Richard, Chief Medical Officer bij TiGenix. "We zullen deze data indienen bij de EMA en zijn vastbesloten deze innovatieve, nieuwe behandeling beschikbaar te maken voor patiënten die getroffen worden door de uitdagingen van deze ernstige aandoening."

De volledige resultaten van doeltreffendheid en de veiligheid zullen worden voorgesteld tijdens het 11de Congres van ECCO (European Crohn's and Colitis Organisation).

"De resultaten van deze omvangrijke, robuuste en gecontroleerde studie zijn klinisch relevant en openen compleet nieuwe wegen voor de behandeling van perianale fistels in de ziekte van Crohn, één van de ernstigste manifestaties van deze ziekte. Deze therapie geeft 44% meer kans aan patiënten dat hun fistels sluiten na één injectie en dat is een belangrijke doorbraak", aldus Dr Julián Panés, Hoofd van de afdeling Gastro-enterologie, Hoofd van de Inflammatory Bowel Diseases Unit en Associate Professor of Medicine in de Hospital Clínic of Barcelona, President-Elect van ECCO en Chairman van de TiGenix ADMIRE-CD Scientific Advisory Board.

"Dit is een uiterst belangrijke realisatie voor TiGenix", aldus Eduardo Bravo, CEO van TiGenix. "Deze positieve resultaten, samen met de recente goedkeuring van de FDA voor ons fase III- studieprotocol voor de VS, zorgen ervoor dat we op volle kracht zullen doorgaan om Cx601 beschikbaar te kunnen stellen voor de meer dan 100.000 patiënten die elk jaar onder deze ernstige aandoening lijden."

Webcast en videoconferentie

Op maandag 24 augustus om 15u CEST/9u EDT zal TiGenix een webcast houden met een conference call. De volgende sprekers zullen de resultaten van het onderzoek voorleggen, de volgende stappen voor Cx601 toelichten en meer informatie geven over het Bedrijf. Er zullen ook vragen worden beantwoord.

- Dhr. Eduardo Bravo, Chief Executive Officer, TiGenix
- Dr Marie Paule Richard, Chief Medical Officer, TiGenix
- Dr Julián Panés, Head Gastroenterology Department, Head IBD Unit en Associate Professor of Medicine bij de Hospital Clínic of Barcelona, President-Elect van ECCO en Chairman van de TiGenix ADMIRE-CD Scientific Advisory Board

Gelieve één van de volgende nummers te bellen om deel te nemen:

⁴ mITT: modified ITT d.w.z. gerandomiseerde en behandelde patiënten, met minstens één doeltreffendheidswaarde na baseline

TIGENIX

België: +32 (0) 2404 0662
Canada: +1 514 841 2154
Frankrijk: +33 (0) 1 76 77 22 26
Nederland: +31 (0) 20 716 8257

Zweden: +46 (0) 8 5065 3936
Verenigd Koninkrijk: +44 (0) 20 3427 1900
Verenigde Staten van Amerika: +164 6254 3365
Spanje: +34 91 453 3445

Bevestigingscode: 8585083

De webcast kan live online worden gevolgd via de onderstaande link:

<http://edge.media-server.com/m/p/kvidxhyn>

Het persbericht en de slideshow van de webcast worden ter beschikking gesteld in het onderdeel Newsroom van de website van TiGenix. Kort na het einde van de live webcast kan men de webcast op de website bekijken.

Voor meer informatie:

Claudia D'Augusta
Chief Financial Officer
T: +34 91 804 92 64
claudia.daugusta@tigenix.com

Ana Pombo
Strategic Planning en IR Manager
T: + 34 91 804 92 64
ana.pombo@tigenix.com

Over Cx601

Cx601 is een suspensie van allogene geëxpandeerde adipose-afgeleide stamcellen (eASC) die worden toegediend via een intralesionale injectie. Cx601 wordt ontwikkeld voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. De ziekte van Crohn is een chronische darmontsteking. Patiënten kunnen daarbij last krijgen van complexe perianale fistels waarvoor momenteel geen doeltreffende behandeling bestaat. In 2009 kende de Europese Commissie aan Cx601 weesgeneesmiddelbestemming toe voor de behandeling van anale fistels, rekening houdend met de slopende aard van de ziekte en het gebrek aan behandelingsopties. Op basis van de positieve resultaten van fase II vroeg TiGenix het wetenschappelijk advies van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) over de toekomstige ontwikkeling van Cx601. TiGenix startte daarop een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebogecontroleerde fase III-studie in Europa en Israël die voldeed aan de vereisten opgelegd door de EMA. "Madrid Network", een organisatie binnen de autonome regio van Madrid die bedrijven helpt om te groeien via hoogtechnologische innovatie, kende een lening toe om te helpen bij het financieren van deze fase III-studie. Het programma wordt gefinancierd door de Staatssecretaris van onderzoek, ontwikkeling en innovatie (Ministerie van Economie en Concurrentievermogen) binnen het kader van het INNTEGRA-plan. Het primaire eindpunt van de studie is gecombineerde remissie, omschreven als het sluiten van alle behandelde externe openingen, ondanks lichte druk met de vinger, die tijdens het baseline-onderzoek lekten in week 24, en de afwezigheid van opstapelingen van meer dan 2 cm, bevestigd door MRI. De studie kende een eerste volledige analyse van de resultaten na 24 weken met daarna een verdere analyse 52 weken na de behandeling.' De volledige groep patiënten was tijdens het vierde kwartaal 2014 gerekruteerd. Op basis van de positieve resultaten van fase III zal TiGenix begin 2016 een aanvraag tot markttoelating indienen bij de EMA. TiGenix maakt zich klaar om Cx601 te ontwikkelen voor de Amerikaanse markt na het verkrijgen van de goedkeuring van de FDA voor de pivotale fase III-studie onder SPA op 7 augustus 2015.

Over TiGenix

TiGenix NV (Euronext Brussels: TIG) is een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich richt op het ontwikkelen en op de markt brengen van nieuwe therapeutische middelen op basis van eigen platforms van allogene (van donors verkregen) geëxpandeerde stamcellen. Twee producten van het adipose-afgeleide technologieplatform bevinden zich momenteel in de klinische ontwikkelingsfase. Cx601 zit in fase III voor de behandeling van perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. Cx611 voltooide een fase I/II-studie bij reumatoïde artritis evenals een fase I-sepsisprovocatiestudie. Vanaf 31 juli 2015 nam TiGenix Coretherapix over, wiens voornaamste celproduct (AlloCSC-01) zich momenteel in een fase II-klinische studie in acuut myocardinfarct (AMI) bevindt. Coretherapix is tevens van plan om van start te gaan met de klinische evaluatie van AlloCSC-01 in chronische

hartaandoeningen en is ook betrokken bij de preklinische ontwikkeling van een farmaceutische formulering van groeifactoren voor de behandeling van AML. Tenslotte ontwikkelde TiGenix ook ChondroCelect, een autoloog celtherapieproduct voor het herstellen van het kraakbeen in de knie. Dit was het eerste Advanced Therapy Medicinal Product (ATMP) dat goedgekeurd werd door het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA). Sinds juni 2014 werden de marketing- en distributierechten voor ChondroCelect exclusief in licentie gegeven aan Sobi voor de Europese Unie (behalve Finland waar het verdeeld wordt door het Finse Rode Kruis), 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 is ook actief in Madrid (Spanje).

Voor meer informatie kunt u terecht op www.tigenix.com

Toekomstgerichte uitspraken

Dit document kan toekomstgerichte uitspraken bevatten evenals schattingen met betrekking tot de verwachte toekomstige prestaties van TiGenix en de markt waarop het bedrijf actief is. Bepaalde van deze uitspraken, voorspellingen en schattingen kunnen herkend worden aan het gebruik van woorden zoals, zonder beperking, "geloof", "verwacht", "wil", "is van plan", "probeert", "schat", "kan", "zal", en "zal blijven" evenals gelijkaardige uitdrukkingen. Deze omvatten alle zaken die geen historische feiten zijn. Dergelijke uitspraken, voorspellingen en schattingen zijn gebaseerd op diverse aannames en beoordelingen van gekende en ongekende risico's, onzekerheden en andere factoren die redelijk werden geacht toen ze gedaan werden maar die ook fout kunnen zijn of blijken te zijn. De huidige gebeurtenissen zijn moeilijk te voorspellen en kunnen afhangen van factoren buiten de controle van de onderneming om. De huidige resultaten, de financiële toestand, de prestaties of resultaten van TiGenix of de resultaten van de sector kunnen uiteindelijk materieel verschillen van toekomstige resultaten, prestaties of resultaten die uitgedrukt of geïmpliceerd zijn in deze uitspraken, voorspellingen of resultaten. Gezien deze onzekerheden worden geen verklaringen gedaan over de accuraatheid of juistheid van deze toekomstgerichte uitspraken, voorspellingen en schattingen. Bovendien gelden de toekomstgerichte uitspraken, voorspellingen en schattingen enkel vanaf de datum van publicatie van dit document. TiGenix doet afstand van elke verplichting om deze toekomstgerichte uitspraken, voorspellingen en schattingen bij te werken om veranderingen te weerspiegelen in de verwachtingen van de onderneming daaromtrent of veranderingen in gebeurtenissen, voorwaarden of omstandigheden waarop deze uitspraken, voorspellingen of schattingen gebaseerd zijn, behalve voor zover vereist door de Belgische wet.