

## TiGenix lanceert de wereldwijde fase III studie voor Cx601

**Leuven (BELGIË) – 13 juni, 2017, 7.00 uur CEST – TiGenix NV (Euronext Brussels en NASDAQ: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat zich toespitst op het gebruik van de ontstekingsremmende eigenschappen van allogene, of van een donor afkomstige, stamcellen om nieuwe behandelingen voor ernstige medische aandoeningen te ontwikkelen, heeft vandaag aangekondigd dat het de eerste Europese bijeenkomst van onderzoekers heeft georganiseerd, die formeel de wereldwijde pivotale fase III klinische studie lanceert voor Cx601 voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. Gelijkaardige bijeenkomsten van onderzoekers zijn gepland in Europa (EU), Israël, de Verenigde Staten en Canada vanaf het vierde kwartaal van 2017. De globale studie is ontworpen om een toekomstige registratie voor Cx601 in de Verenigde Staten te ondersteunen.**

De eerste bijeenkomst van onderzoekers, gehouden op 8 en 9 juni in Rome, Italië, bracht meer dan 60 toonaangevende gastro-enterologen, colorectale chirurgen en studietoelators bijeen uit 30 ziekenhuizen die hun deelname aan de klinische studie reeds bevestigden uit België, de Tsjechische Republiek, Italië, Polen en Spanje. Presentaties werden gegeven door nationale en regionale studietoelators, onder wie de gastro-enteroloog studietoelator voor Europa en Israël, Professor Julián Panés, hoofd van de inflammatoire darmziekte-eenheid van het Hospital Clinic van Barcelona (Spanje) en tevens de voorzitter van de Europese Organisatie voor Crohn en Colitis (ECCO), en chirurg studietoelator voor Europa en Israël, en Dr. Damián García Olmo, hoofd van de afdeling chirurgie van de Fundación Jiménez Díaz University Hospital, Universidad Autónoma de Madrid (Spanje).

De wereldwijde pivotale fase III studie is een gerandomiseerde, dubbelblinde, placebo-gecontroleerde studie die ontworpen is om de efficiëntie en veiligheid te bevestigen van een enkele toediening van Cx601 voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn. Het ontwerp van de studie is gelijkaardig aan de Europese fase III ADMIRE-CD studie voor Cx601 met een identiek primair eindpunt. In januari 2017 heeft de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) ingestemd met het ontwerp van het protocol voor de wereldwijde fase III studie, en bevestigd dat een toekomstige Amerikaanse Biologics License Application (BLA) zou kunnen worden ingediend op basis van de studieresultaten in week 24, in plaats van week 52, van een bredere patiëntenpopulatie dan de initiële Special Protocol Assessment (SPA) die formeel werd goedgekeurd in augustus 2015. Met deze aanpassingen zou de studie moeten kunnen genieten van een versneld recruiteringsproces, wat leidt tot kortere tijdslijnen, een eerdere indiening, en de mogelijkheid van een eerdere goedkeuring in de Verenigde Staten.

“Bijeenkomsten van onderzoekers zijn cruciaal voor het succes van elke studie. De aanwezigheid en ondersteuning van toonaangevende experts inzake gastro-enterologie bevestigt de sterke interesse van de medische gemeenschap in onze wereldwijde fase III studie en, uiteindelijk, voor Cx601 als een potentiële nieuwe behandeling voor patiënten,” zei Dr. Marie Paule Richard, Chief Medical Officer van TiGenix.

“Na mijn deelname als hoofdonderzoeker voor de Europese ADMIRE-CD studie, die met succes zijn primair eindpunt en veiligheids- en efficiëntieprofiel heeft gehaald, ben ik enthousiast om deel te nemen aan deze wereldwijde studie als studietoelator voor Europa en Israël,” zei Professor Julian Panés. “We willen graag verder bouwen op het bewijs dat we gewonnen hebben met de ADMIRE-CD studie en uiteindelijk patiënten een duurzame behandeling aanbieden voor hun complexe perianale fistels, die een ernstige en verzwakkende complicatie van de ziekte van Crohn zijn.”

## Voor meer informatie

### **Claudia D'Augusta**

Chief Financial Officer

T: +34 91 804 92 64

[claudia.daugusta@tigenix.com](mailto:claudia.daugusta@tigenix.com)

## **Over TiGenix**

*TiGenix NV (Euronext Brussels en NASDAQ: TIG) is een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf dat nieuwe behandelingen ontwikkelt voor ernstige medische aandoeningen door de ontstekingsremmende eigenschappen van allogene, of van een donor afkomstige, stamcellen te gebruiken.*

*Het meest gevorderde product van TiGenix, Cx601, heeft met succes een fase III- klinische studie in Europa afgerond voor de behandeling van complexe perianale fistels, een ernstige en verzwakkende complicatie van de ziekte van Crohn. Cx601 is ingediend voor goedkeuring in Europa en een wereldwijde fase III-studie, bedoeld om een toekomstige aanvraag voor een licentie voor een biologisch middel (Biologics License Application, BLA) in de VS te ondersteunen, zal naar verwachting in 2017 van start gaan. TiGenix heeft een licentieovereenkomst afgesloten met Takeda Pharmaceuticals, een wereldwijd farmaceutisch bedrijf dat actief is op het gebied van de gastro-enterologie, waardoor Takeda de exclusieve rechten heeft verworven om Cx601 buiten de VS te ontwikkelen en op de markt te brengen voor complexe perianale fistels. Het tweede uit vetweefsel afkomstig product van TiGenix, Cx611, doorloopt een fase I/II-studie bij ernstige sepsis, een belangrijke oorzaak van sterfte in de ontwikkelde wereld. Tenslotte heeft AlloCSC-01, gericht op acute ischemische hartziekte, positieve resultaten aangetoond in een fase I/II-studie bij acuut myocardinfarct (AMI). TiGenix heeft haar hoofdzetel in Leuven en heeft vestigingen in Madrid (Spanje). Voor meer informatie, ga naar <http://www.tigenix.com>.*

## **Over Cx601**

*Cx601 is een suspensie van allogene (van een donor afkomstige) geëxpandeerde, uit vetweefsel verkregen stamcellen (expanded adipose stem cells, eASCs) die lokaal wordt geïnjecteerd voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn bij wie conventionele behandeling is mislukt. De ziekte van Crohn is een chronische ontstekingsziekte van de darmen en complexe perianale fistels zijn een ernstige en verzwakkende complicatie waarvoor momenteel geen doeltreffende behandeling bestaat. In 2009 wees de Europese Commissie Cx601 aan als weesgeneesmiddel. TiGenix voltooide in augustus 2015 een Europees fase III klinisch onderzoek (ADMIRE-CD) waarin zowel het primaire eindpunt als het veiligheids- en werkzaamheidsprofiel behaald werden, waarbij patiënten die Cx601 ontvingen 44% meer kans hadden op het bereiken van gecombineerde remissie dan patiënten in de controlegroep (placebo). 52 weken en 104 weken na de behandeling werd een opvolgingsanalyse uitgevoerd, die het aanhoudende veiligheids- en werkzaamheidsprofiel van het product bevestigde. De resultaten na 24 weken van het fase III-ADMIRE-CD onderzoek werden in juli 2016 gepubliceerd in The Lancet (Panés J et al. Lancet. 2016;388:1281-90). Op basis van de positieve resultaten van het fase III-onderzoek na 24 weken heeft TiGenix een aanvraag tot vergunning voor het in de handel brengen (Marketing Authorisation Application) bij het Europees Geneesmiddelenbureau (European Medicines Agency, EMA) ingediend en men verwacht in 2017 een beslissing. Een wereldwijd fase III klinisch onderzoek, bedoeld als ondersteuning van een aanvraag voor een licentie voor een biologisch middel (Biologics License Application, BLA) zal naar verwachting in 2017 van start gaan, op basis van een onderzoeksprotocol dat is overeengekomen met de Food and Drug Administration (FDA) via een speciale protocolbeoordelingsprocedure (Special Protocol Assessment, SPA). In juli 2016 sloot TiGenix een licentieovereenkomst met Takeda Pharmaceuticals, een wereldwijd farmaceutisch bedrijf dat actief is op het gebied van de gastro-enterologie, waardoor Takeda de exclusieve rechten*

verwierf om Cx601 buiten de VS te ontwikkelen en op de markt te brengen voor complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn.

## **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.*