

Zakelijke en financiële update van TiGenix voor de eerste helft van 2017

(Conference call en webcast vandaag om 15.00 CET)

Leuven (BELGIË) – 19 september 2017, 7.00 uur CET – 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, meldde vandaag haar zakelijke en financiële hoogtepunten voor de zes maanden tot 30 juni 2017.

Voornaamste zakelijke en financiële hoogtepunten voor de eerste helft van 2017 en blikvangers na deze periode:

- **Cx601 bleef in Europa en de VS belangrijke waarde-inflectiepunten bereiken.**
 - Antwoorden op de dag 180 LvOP ingediend in september 2017. Het dag 181 dossier voor Cx601 valt binnen de eerste week van oktober, waardoor in 2017 een CHMP-advies kan volgen
 - Een beslissing van de Europese Commissie zal leiden tot een betaling van 15 miljoen euro door Takeda Pharmaceuticals na een handelsvergunning
 - Het Zwitserse agentschap voor therapeutische producten (“Swissmedic”) aanvaarde het dossier te evalueren over Cx601 voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn
 - TiGenix verkreeg een vergunning voor commerciële productie voor haar uitgebreide productievestiging in Madrid om capaciteit te voorzien voor de potentiële initiële commercialisering van Cx601 in Europa. De uitgebreide vestiging staat tevens in voor de productiecapaciteit van andere producten in de pijplijn
 - De globale fase III pivotale studie ter ondersteuning van een toekomstige registratie van Cx601 in de VS werd in juni 2017 formeel gelanceerd in Europa en Israël
 - TiGenix opende in de VS haar hoofdkantoor in het hart van het biotechnologisch kerngebied in Boston
 - Versterkte activiteit in de VS met twee hoge benoemingen: Dr Gregory Gordon, Head of Medical Department (VS) en Annette Valles-Sukkar, Associate Director, Clinical Project
 - Cx601 leverde positieve opvolgingsresultaten op na 104 weken, wat het doeltreffendheids- en veiligheidsprofiel op lange termijn bevestigt
- **Verdere vooruitgang in de pijplijn**
 - Eerste patiënt ingeschreven in een klinische fase I/II-studie over Cx611 voor de behandeling van ernstige sepsis
 - Fase I/II studieresultaten aangekondigd met AlloCSC-01 bij acuut myocardinfarct (AMI)
- **Sterke kaspositie per 30 juni 2017 van 56,5 miljoen euro**

“De laatste tijd hebben we goede vooruitgang blijven boeken om ons hoofdproduct, Cx601, in de handel te brengen als een belangrijke nieuwe behandelingsoptie voor patiënten met een ernstige en verzwakkende complicatie van de ziekte van Crohn”, aldus Eduardo Bravo, CEO van TiGenix. “In Europa staan we nu dicht bij een CHMP-advies, dat er dit jaar kan komen. Ons samenwerkingsverband met Takeda en de voorbereiding van de Europese lancering verlopen vlot.

Als we verder kijken dan de Europese markt, zien we de succesvolle lancering van onze globale fase III-studie ter ondersteuning van de registratieaanvraag in de VS en blijven we pistes onderzoeken om de toegang tot het product voor Noord-Amerikaanse patiënten te versnellen. Met de vooruitgang voor Cx601, haar potentieel voor nieuwe indicaties en de aanhoudende vorderingen in onze pijnpijn, kijken we bijzonder enthousiast uit naar de komende maanden.”

Zakelijke hoogtepunten voor de eerste helft van 2017 en blikvangers na deze periode

Cx601 is belangrijke waarde-inflexiepunten blijven bereiken

TiGenix diende in september 2017 antwoorden in op de vragen van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van de dag 180 lijst van openstaande punten voor de aanvraag van de handelsvergunning voor Cx601.

Het indienen van de antwoorden op de CHMP dag 180 LvOP maakt deel uit van de standaard regelgevingsprocedure, waarna het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) een dossier verder behandelt na deze klokstop.

Het dag 181 dossier voor Cx601 valt binnen de eerste week van oktober, een aanpassing van ongeveer één maand ten opzichte van de eerder voorziene evaluatiekalender die met het EMA was overeengekomen. TiGenix is ervan overtuigd dat de bij het CHMP ingediende antwoorden afdoende gedetailleerd en verduidelijkend zijn en tot een CHMP-advies in 2017 kan leiden.

De gecentraliseerde Europese aanvraag voor een handelsvergunning bij het EMA werd ondersteund door de positieve resultaten na 24 en 52 weken in fase III van de ADMIRE-CD fase III klinische studie. TiGenix komt in aanmerking om een mijlpaalbetaling van 15,0 miljoen euro te ontvangen van Takeda bij het verkrijgen van de handelsvergunning.

In juni kondigde TiGenix samen met haar partner Takeda aan dat het Zwitserse agentschap voor therapeutische producten (“Swissmedic”) het dossier over Cx601 voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn voor onderzoek heeft aanvaard. Cx601 kreeg eerder, in september 2016, de status van weesgeneesmiddel toegekend van Swissmedic, ter erkenning van de ernstige en verzwakkende aard van de ziekte. De aanvraagindiening bij Swissmedic bevatten de fase III ADMIRE-CD proefgegevens voor Cx601. De indiening bij Swissmedic betekende een belangrijke mijlpaal wat betreft de commercialisering van Cx601 in Zwitserland.

Nog in juni lanceerde TiGenix formeel de globale fase III pivotale studie voor Cx601 voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn, ontworpen ter ondersteuning van een toekomstige registratieaanvraag voor Cx601 in de VS. De eerste onderzoekersbijeenkomst vond plaats op 8 en 9 juni in Rome, Italië, met de aanwezigheid van meer dan 60 toonaangevende gastro-enterologen, colorectale chirurgen en studiecoördinatoren van 30 erkende klinische proeflocaties in België, de Tsjechische Republiek, Italië, Polen en Spanje. Vanaf het vierde kwartaal van 2017 zijn er nog gelijkaardige onderzoekersbijeenkomsten gepland in Europa (EU), Israël, de Verenigde Staten en Canada.

De globale fase III pivotale studie is een dubbelblind, gerandomiseerd, placebogecontroleerd onderzoek ontworpen om de doeltreffendheid en veiligheid te bevestigen van één 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 stemde de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) in met het ontwerp van het protocol voor de globale fase III-studie en bevestigde het dat in de toekomst een Amerikaanse aanvraag voor een licentie voor een biologisch middel (BLA) kon worden ingediend op basis van de onderzoeksresultaten na week 24 in plaats van week 52 met een bredere doelgroep dan de oorspronkelijke speciale protocolbeoordelingsprocedure (SPA) in

augustus 2015 formeel goedkeurde. Met deze aanpassingen zal de studie profiteren van een versneld rekruteringsproces, wat moet leiden tot kortere termijnen, een snellere indiening van de aanvraag en de mogelijkheid van een snellere goedkeuring in de VS.

Tegelijkertijd blijft TiGenix snellere pistes verkennen om de toekomstige BLA en het evaluatieproces ervan in de VS te bespoedigen.

In juni opende TiGenix haar Noord-Amerikaans hoofdkantoor in Cambridge, Massachusetts. Het consolideren van haar activiteit in de VS is een belangrijke stap voor TiGenix en ondersteunt haar strategisch doel om Cx601 in de VS te ontwikkelen en te commercialiseren. De activiteit van TiGenix in de VS wordt gevoerd vanuit het Cambridge Innovation Center in Kendall Square, in het hart van het biotechnologisch kerngebied in Boston. Sindsdien heeft TiGenix haar activiteit in de VS versterkt met twee hoge benoeringen: Dr Gregory Gordon, Head of Medical Department (VS) en Annette Valles-Sukkar, Associate Director, Clinical Project.

In september verkreeg TiGenix een vergunning voor de commerciële productie van geëxpandeerde, uit vetweefsel verkregen stamcellen (eASC) in haar uitgebreide productievestiging in Madrid. De productievergunning kwam er na een inspectie van het Spaanse Geneesmiddelenbureau (AEMPS) en zorgt voor productiecapaciteit voor de potentiële initiële Europese commercialisering van Cx601. De uitgebreide vestiging zal ook voor voldoende capaciteit zorgen voor de productie van andere momenteel door TiGenix ontwikkelde producten in de pijn, waaronder Cx611.

Tijdens deze periode bleef TiGenix ook de positieve resultaten van de ADMIRE-CD fase III klinische studie verder bekendmaken. In maart kondigde TiGenix positieve opvolgingsresultaten na 104 weken aan, wat het doeltreffendheids- en veiligheidsprofiel van Cx601 op lange termijn bevestigt voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn .

De resultaten na 52 weken werden eveneens gepresenteerd op een aantal belangrijke internationale conferenties, waaronder het 12^{de} Congres van de Europese Organisatie voor Patiënten met de ziekte van Crohn en Colitis (ECCO) in februari en de jaarlijkse vergadering van de Digestive Disease Week (DDW), een van de meest prestigieuze congressen op het gebied van gastro-enterologie (GI) in mei 2017.

In parallel met de presentatie op de DDW organiseerde TiGenix een bijeenkomst voor belangrijke opinieleiders (KOL), waarop toonaangevende deskundigen op het gebied van GI de onvervulde medische behoefte bespraken om complexe perianale fistels te behandelen. De klinische gegevens van Cx601 werden op de bijeenkomst besproken en er werd verder inzicht verschaft in de vraag waarom Cx601 het potentieel heeft om een baanbrekende therapie te worden om complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn te behandelen.

TiGenix heeft samenwerkingsverbanden aangegaan met de grootste klankbordgroepen voor patiënten met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa, wat nog maar eens de verbintenis van de onderneming benadrukt om deze verzwakkende aandoening te behandelen . In de Verenigde Staten is TiGenix lid geworden van de President's Corporate Circle van de Stichting Crohn en Colitis en in Europa heeft TiGenix een sponsorovereenkomst ondertekend met de Europese Federatie van Crohn en Colitis Ulcerosa Verenigingen (EFCCA). De onderneming zal met beide organisaties samenwerken om het begrip en het bewustzijn omtrent complexe perianale fistels bij de ziekte van Crohn te verbreden.

Vooruitgang in de pijn

Naast Cx601 blijft TiGenix vooruitgang boeken met haar allogene producten in de pijn.

Cx611 is TiGenix' intraveneus allogene (of van donor verkregen) stamceltherapie een potentieel eersteklas product, bedoeld voor de behandeling van ernstige sepsis, een belangrijke doodsoorzaak in de ontwikkelde wereld. De fase Ib/IIa (SEPCELL) klinische studie voor Cx611 voor de behandeling van ernstige sepsis als gevolg van in de gemeenschap verworven pneumonie (CAP) werd gelanceerd in de tweede helft van 2016 en de eerste patiënt werd gedoseerd in januari 2017. De gegevens zullen

naar verwachting beschikbaar zijn in 2019 en we zijn van mening dat Cx611 een zeer innovatieve mogelijke behandeling is voor deze indicatie.

In maart 2017 kondigde TiGenix de top-line resultaten van de fase I/II (CAREMI) studie naar AlloCSC-01 bij acuut myocardinfarct (AMI) aan. CAREMI was de eerste klinische studie bij de mens met als primair doel de veiligheid en het evalueren van de haalbaarheid van een intracoronaire infusie van AlloCSCs bij patiënten met AMI en linkerventrikeldisfunctie behandeld binnen de eerste week na een AMI. CAREMI had niet het onderscheidingsvermogen om de werkzaamheid vast te stellen en daarom werd er geen conclusie getrokken op basis van de secundaire werkzaamheidseindpunten.

Alle veiligheidsdoelstellingen van de studie werden bereikt. Na 30 dagen werd geen mortaliteit of ernstige cardiale bijwerkingen (MACE) waargenomen waarbij aan het primaire eindpunt van de studie werd voldaan. Bovendien werd na 6 maanden of 12 maanden opvolging geen mortaliteit of MACE waargenomen. Van bijzonder belang voor deze allogene aanpak is dat er na één jaar opvolging geen immuun gerelateerde bijwerkingen werden vastgesteld. Een grotere reductie van de infarctgrootte werd vastgesteld in één vooraf gespecificeerde subgroep geassocieerd met een slechte prognose op lange termijn, die meer dan de helft van de patiëntenpopulatie van de randomisatiefase van de studie uitmaakte. Deze bevinding heeft waardevol inzicht geleverd en voorziet in een specifieke richting voor mogelijke studies in een gerichte subset van hoog-risicopatiënten.

Financiële hoogtepunten voor de eerste helft van 2017

	6 maanden afgesloten op 30 juni	
<i>In duizenden euro's (€), behalve aandeleninformatie (in euro's)</i>	2017	2016
GECONSOLIDEERDE RESULTATENREKENING		
Opbrengsten		
Royalty's	-	293
Subsidies en overige opbrengsten	588	650
Totaal opbrengsten en overige opbrengsten	588	943
Onderzoek- en ontwikkelingskosten	(16,637)	(9,702)
Algemene en administratieve kosten	(4,408)	(4,322)
Totale operationele kosten	(21,045)	(14,024)
Operationeel verlies	(20,457)	(13,081)
Financiële opbrengsten	88	57
Interest op leningen en overige financiële kosten	(3,509)	(3,766)
Reële-waardewinsten	-	8,606
Reële-waardeverliezen	(2,284)	(856)
Wisselkoersverschillen	(33)	(292)
Verlies voor belastingen	(26,195)	(9,332)

Winstbelastingen	4	(48)
Verlies voor de periode	(26,191)	(9,380)
<i>Toerekenbaar aan de aandeelhouders van TiGenix NV</i>	(26,191)	(9,380)
Gewoon verlies per aandeel	(0.10)	(0.05)
Verwaterd verlies per aandeel	(0.10)	(0.05)

Tijdens de eerste helft van 2017 was de omzet 0,6 miljoen euro in vergelijking met 0,9 miljoen voor dezelfde periode in 2016. Deze geringe afname houdt verband met de vermindering van royalty's en overige bedrijfsopbrengsten als gevolg van het besluit van het bedrijf om de marktvergunning voor ChondroCelect in juli 2016 in te trekken en de afspraken met Sobi te beëindigen.

In de eerste helft van 2017 hebben we een aanzienlijke verdere vooruitgang geboekt in onze pijprijn. In lijn met onze verwachtingen naarmate we onze klinische programma's verderzetten, bedroegen de onderzoeks- en ontwikkelingskosten voor de eerste helft van 2017 16,6 miljoen euro, in vergelijking met 9,7 miljoen euro voor dezelfde periode in 2016, voornamelijk te wijten aan klinische activiteiten in verband met de lancering van onze globale fase III pivotale studie ter ondersteuning van een toekomstige indiening van Cx601 in de VS, en de lancering van de fase Ib/IIa klinische studie voor Cx611 bij ernstige sepsis.

De algemene en administratieve kosten stegen licht in de eerste helft van 2017 tot 4,4 miljoen euro, in vergelijking met 4,3 miljoen euro voor dezelfde periode in 2016.

Naar aanleiding hiervan bedroeg het operationele verlies voor de eerste helft van 2017 20,5 miljoen euro, in vergelijking met 13,1 miljoen euro tijdens dezelfde periode in 2016.

De netto financiële kosten van de eerste zes maanden van 2017 liepen op tot 5,7 miljoen euro, in vergelijking met een netto financieel inkomen van 3,7 miljoen euro tijdens dezelfde periode in 2016. Dit heeft in de eerste plaats te maken met een niet-contant item; de wijziging in de reële waarde (niet contant) van het in contract besloten derivaat op de converteerbare obligaties uitgegeven in maart 2015 (in lijn met de stijging van de koers in de periode).

Voornamelijk als gevolg van de geplande stijging van de onderzoeks- en ontwikkelingsuitgaven die verband houden met de vooruitgang in onze klinische ontwikkelingsactiviteiten en de niet-contante verandering van de netto financiële kosten zoals hierboven beschreven, bedroeg het verlies voor de eerste helft 2017 26,2 miljoen euro, vergeleken met 9,4 miljoen euro voor dezelfde periode in 2016 (die positief werd beïnvloed door een niet-contante reële winstwaarde).

Aan het einde van juni 2017 had de onderneming geldmiddelen en kasequivalenten ter waarde van 56,5 miljoen euro, in vergelijking met 78,0 miljoen aan het begin van het jaar. Dit is in lijn met onze verwachtingen en is voornamelijk te wijten aan het netto kapitaal dat in de eerste helft van 2017 in bedrijfsactiviteiten werd gebruikt.

Vooruitzichten voor de komende periodes:

- 2H 2017 – Cx601 CHMP-advies
- 2H 2017 – Plan voor nieuwe indicaties voor Cx601
- 1H 2018 – Mogelijke mijlpaalbetaling van 15,0 miljoen euro door Takeda bij EU-goedkeuringsbesluit

- 1H 2018 – Takeda gaat Cx601 op de Europese markten lanceren
- 1H 2018 – Cx601 IND en start van de rekrutering in centra in de VS

Tussentijds financieel verslag

Het tussentijds financieel verslag voor de eerste helft van 2017 is vanaf woensdag 20 september beschikbaar op de website van TiGenix, <http://www.tigenix.com>.

Conference call en webcast presentatie

TiGenix zal een conference call organiseren op 19 september 2017 om 15.00 uur CET / 09.00 u ET, die ook een webcast zal zijn. Om deel te nemen aan de conference call, belt u in via de volgende nummers:

Bevestigingscode: 1049542

Londen, Verenigd Koninkrijk:	+44(0)20 3427 1917
New York, Verenigde Staten:	+1 212 444 0896
Parijs, Frankrijk:	+33(0)1 70 48 01 66
Brussel, België:	+32(0)2 404 0662
Madrid, Spanje:	+34 91 114 6581
Amsterdam, Nederland:	+31(0)20 721 9158

De webcast kan online live worden gevolgd via de link: <http://edge.media-server.com/m/p/naozpxws>.

Het persbericht en de diapresentatie van de webcast zullen beschikbaar gesteld worden op de website van TiGenix. U kunt de webcast opnieuw laten afspelen op de website kort nadat de live webcast is afgelopen.

Voor meer informatie

Claudia D'Augusta

Chief Financial Officer

T: +34 91 804 92 64

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 globale fase III-studie, bedoeld om een toekomstige aanvraag voor een licentie voor een biologisch middel (Biologics License Application, BLA) in de VS te ondersteunen, is in 2017 van start gegaan. 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). De week-24 gegevens werden gepubliceerd in *The Lancet* en toonden aan dat zowel het primaire eindpunt als het veiligheids- en werkzaamheidsprofiel behaald werden.ⁱ 52 weken en 104 weken na de behandeling werd een opvolgingsanalyse uitgevoerd, die het aanhoudende veiligheids- en werkzaamheidsprofiel van het product bevestigdeⁱⁱ. De resultaten na 24 weken van het fase III-ADMIRE-CD onderzoek werden in juli 2016 gepubliceerd in *The Lancet*ⁱ. 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 advies van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP). Een globale fase III klinisch onderzoek, bedoeld als ondersteuning van een aanvraag voor een licentie voor een biologisch middel (Biologics License Application, BLA) is in 2017 van start gegaan, 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.

Over Cx611

Cx611 is een intraveneuze toediening van allogene (van een donor afkomstige) geëxpandeerde, uit vetweefsel verkregen stamcellen (expanded adipose stem cells, eASCs) voor de behandeling van ernstige sepsis. Sepsis is een levensbedreigende ontstekingsreactie op een infectie die leidt tot systemische ontsteking en orgaanfalen en is de voornaamste doodsoorzaak in de ontwikkelde wereld. In mei 2015 voltooide TiGenix een fase I-sepsisprovocatieonderzoek (CELLULA) dat een gunstig veiligheids- en werkzaamheidsprofiel van Cx611 aantoonde. Op basis van de resultaten van deze studie lanceerde TiGenix in 2016 een klinische fase I/II-studie (SEPCELL) ter evaluatie van Cx611 voor de behandeling van ernstige sepsis als gevolg van buiten het ziekenhuis verworven pneumonie (community-acquired pneumonia, CAP) bij patiënten die mechanische beademing en/of vasopressoren nodig hebben. De eerste patiënt kreeg een dosis in januari 2017 en gegevens worden verwacht in 2019. Het onderzoek kreeg fondsen van het Horizon 2020 onderzoeks- en innovatieprogramma van de Europese Unie onder subsidieovereenkomst nr. 681031 en wordt uitgevoerd door het SEPCELL-consortium dat zes partners uit vier Europese landen samenbrengt. Zie www.sepcell.eu voor meer informatie.

Over AlloCSC-01

AlloCSC-01 is een intracoronaire toediening van allogene hartstamcellen voor de behandeling van ischemische hartziekte. Een klinische fase I/II-studie (CAREMI) ter evaluatie van AlloCSC-01 voor acuut myocardinfarct (AMI) behaalde haar primair eindpunt zonder mortaliteits- of belangrijke hartbijwerkingen (major cardiac adverse events, MACE) waargenomen na 30 dagen behandeling. Er werd geen mortaliteit of MACE waargenomen na 6 of 12 maanden opvolging en er waren geen immuungerelateerde bijwerkingen na 12 maanden opvolging. De CAREMI studie werd uitgevoerd door het CAREMI-consortium (subsidienummer 242038, <http://www.caremiproject.eu/>), gefinancierd door het Zevende Kaderprogramma (Seventh Framework Programme) van de Europese Commissie en gecoördineerd door het Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares (CNIC) en het

Centro Nacional de Biotecnología, met de deelname van onderzoeksinstellingen en bedrijven in negen EU-landen.

ⁱ Panés J, García-Olmo D, Van Assche G *et al.*, Expanded allogeneic adipose-derived mesenchymal stem cells (Cx601) for complex perianal fistulas in Crohn's disease: a phase 3 randomized, double-blind controlled trial. *The Lancet*. 2016; 388(10051):1281-90.

ⁱⁱ Panes, J. *et al.*, OP009 Long-term efficacy and safety of Cx601, allogeneic expanded adipose-derived mesenchymal stem cells, for complex perianal fistulas in Crohn's disease: 52-week results of a phase III randomised controlled trial. *J Crohn's Colitis*. 2017; 11: S5-S5.