

## La FDA estadounidense concede a TiGenix la denominación de medicamento huérfano para Cx601

Lovaina (BÉLGICA) - 23 de octubre de 2017, 07.00 h. CEST - TiGenix NV (Euronext Brussels y NASDAQ: TIG), empresa biofarmacéutica avanzada centrada en la explotación de las propiedades antiinflamatorias de células madre expandidas alogénicas, o procedentes de donantes, para el desarrollo de nuevos tratamientos destinados a condiciones médicas graves, anuncia hoy que la Agencia de Alimentos y Medicamentos (*Food and Drug Administration*, FDA) de EE. UU. ha concedido la denominación de medicamento huérfano (*Orphan Drug Designation*, ODD) a Cx601 para el tratamiento de pacientes que padecen la enfermedad de Crohn fistulizante.

TiGenix inició un ensayo clínico pivotal fase III a nivel global en el primer semestre de 2017 con el objetivo de presentar ante la FDA una futura solicitud de autorización de productos biológicos (*Biologics License Application*, BLA) para Cx601, un innovador producto basado en células madre alogénicas para el tratamiento de las fístulas perianales complejas en pacientes con la enfermedad de Crohn que no han respondido como se esperaba al menos a un tratamiento biológico o convencional. En paralelo, TiGenix está explorando vías que aceleren el proceso de presentación y revisión para la aprobación del fármaco en EE. UU.

"La concesión de la denominación de medicamento huérfano por parte de la FDA supone un importante paso adelante en el programa de desarrollo de Cx601", comentó la Dra. María Pascual, vicepresidenta de Asuntos Regulatorios y Calidad de TiGenix. "El hecho de que la FDA reconozca Cx601 como medicamento huérfano conlleva diversos beneficios financieros potenciales y refleja nuestros constantes esfuerzos por buscar vías que aceleren la aprobación del producto en EE. UU."

La FDA concede la denominación de medicamento huérfano a productos innovadores destinados a tratar condiciones médicas que afectan a más de 200.000 personas en EE. UU. Esta denominación, cuyo objetivo es facilitar el desarrollo de fármacos para enfermedades raras, ofrece importantes ventajas al patrocinador, como siete años de explotación comercial en exclusiva una vez obtenida la autorización de comercialización, créditos fiscales para costes de investigación clínica, acceso a subsidios para productos huérfanos o exención de algunas tarifas administrativas.

### Más información:

#### **Claudia Jiménez**

Senior Director Investor Relations and Communications

Tel: +34918049264

[Claudia.jimenez@tigenix.com](mailto:Claudia.jimenez@tigenix.com)

### **Sobre TiGenix**

*TiGenix NV (Euronext Brussels y NASDAQ: TIG) es una empresa biofarmacéutica que desarrolla nuevos tratamientos para condiciones médicas graves explotando las propiedades antiinflamatorias de células madre alogénicas, o procedentes de donantes.*

*El producto más avanzado de TiGenix, Cx601, ha completado con éxito un ensayo clínico europeo fase III para el tratamiento de fístulas perianales complejas, una complicación grave y debilitante de*

la enfermedad de Crohn. En Europa, TiGenix ha remitido la solicitud de comercialización centralizada a la Agencia Europea del Medicamento. En paralelo, la compañía inició en 2017 un ensayo global fase III para respaldar una solicitud de autorización de productos biológicos (BLA) en EE. UU. TiGenix firmó un contrato de licencia con Takeda, una empresa farmacéutica global especializada en el ámbito de la gastroenterología. En virtud de ese acuerdo, Takeda adquirió el derecho exclusivo para el desarrollo y la comercialización de Cx601 para el tratamiento de fístulas perianales complejas fuera del mercado de EE. UU. El segundo producto de TiGenix derivado del tejido adiposo, Cx611, se está evaluando en un ensayo fase I/II para la septicemia severa, una de las principales causas de mortalidad en el mundo desarrollado. Finalmente, AlloCSC-01, dirigido a la cardiopatía isquémica aguda, ha demostrado resultados positivos en un ensayo fase I/II en infarto agudo de miocardio (IAM). TiGenix tiene su sede central en Lovaina (Bélgica) y cuenta con operaciones en Madrid (España) y Cambridge (Massachusetts, EE. UU.). Para obtener más información, por favor visite <http://www.tigenix.com>.

## **Sobre Cx601**

Cx601 es una suspensión de células madre alogénicas expandidas derivadas de tejido adiposo (expanded adipose-derived stem cells, eASC), que se inyecta intralesionalmente para el tratamiento de las fístulas perianales complejas en pacientes con la enfermedad de Crohn en los que previamente ha fallado el tratamiento convencional. La enfermedad de Crohn es una inflamación crónica del intestino y las fístulas perianales complejas constituyen una complicación grave y debilitante para las que actualmente no existen tratamientos efectivos. La Comisión Europea concedió a Cx601 en 2009 la denominación de medicamento huérfano. TiGenix completó un ensayo clínico europeo fase III (ADMIRE-CD) en agosto de 2015 en el que se cumplieron tanto el objetivo de valoración primario como el perfil de seguridad y eficacia; la probabilidad de alcanzar remisión combinada fue un 44% más alta entre los pacientes tratados con Cx601 que entre los del grupo de control (tratados con placebo). En los análisis de seguimiento a las 52 y a las 104 semanas post-tratamiento se confirmó el perfil continuado de eficacia y seguridad del producto<sup>1</sup>. Los resultados positivos en la semana 24 del ensayo fase III ADMIRE-CD se publicaron en *The Lancet* en julio de 2016<sup>2</sup>. En base a estos resultados, TiGenix presentó una solicitud de autorización de comercialización de este medicamento ante la Agencia Europea de Medicamentos (European Medicines Agency, EMA) y se espera que el CHMP adopte una decisión durante 2017. En paralelo, en 2017 se inició un ensayo clínico global fase III (ADMIRE-CD II) con la intención de apoyar una futura solicitud de autorización de productos biológicos en los EE. UU. (Biologics License Application, BLA). El protocolo de este ensayo ha sido acordado con la Agencia de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) a través de un procedimiento de evaluación especial de protocolo (Special Protocol Assessment, SPA) ([clinicaltrials.gov](http://clinicaltrials.gov); NT03279081). ADMIRE-CD II es un estudio aleatorizado, doble ciego y controlado por placebo que ha sido diseñado para confirmar los niveles de eficacia y seguridad de una dosis única de Cx601 para el tratamiento de fístulas perianales complejas en pacientes con la enfermedad de Crohn. En julio de 2016, TiGenix suscribió un contrato de licencia con Takeda, una empresa farmacéutica global especializada en el ámbito de la gastroenterología, mediante el que Takeda adquirió el derecho exclusivo de desarrollar y comercializar Cx601 fuera de EE. UU. para el tratamiento de las fístulas perianales complejas en pacientes con enfermedad de Crohn.

## **Información sobre previsiones futuras**

Esta nota de prensa podría contener información sobre perspectivas de futuro y estimaciones en relación con los resultados futuros anticipados de TiGenix y el mercado en el que opera. Algunas de estas afirmaciones, previsiones y estimaciones pueden reconocerse por el uso de palabras como, sin limitación, “cree”, “anticipa”, “espera”, “pretende”, “planea”, “intenta”, “estima”, “puede”, “podría” y “continúa” y expresiones similares. Todos los términos hacen referencia a asuntos que no se consideran hechos históricos. Dichas declaraciones, expectativas y estimaciones se basan en

<sup>1</sup> Panés 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.

<sup>2</sup> 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.

*distintas suposiciones y evaluaciones de los riesgos conocidos y desconocidos, incertidumbres y otros factores, que se consideraban razonables en el momento de su realización, pero que pueden ser correctos o no en un futuro. Los acontecimientos reales son difíciles de predecir y pueden depender de factores que están más allá del control de la empresa. Por este motivo, los resultados reales, el estado financiero, el rendimiento o los logros de TiGenix, o los resultados del sector, pueden diferir materialmente de cualquier futuro resultado, rendimiento o logro explícito o implícito en dichas declaraciones, expectativas y estimaciones. Dadas estas incertidumbres, no se otorga ninguna garantía sobre la precisión o equidad de tales declaraciones de expectativas de futuro, previsiones o estimaciones. Además, las declaraciones de expectativas de futuro, previsiones y estimaciones solo hacen referencia a la fecha de la publicación de esta nota de prensa. TiGenix renuncia a cualquier obligación de actualizar ninguna de tales declaraciones de expectativas de futuro, previsiones o estimaciones para reflejar cualquier cambio en las expectativas de la empresa con respecto al contenido anterior, o cualquier cambio en los acontecimientos, condiciones o circunstancias sobre las que se basen dichas declaraciones, previsiones o estimaciones, excepto en la medida exigida por la ley belga.*