

Cx601 van TiGenix door de Amerikaanse FDA aangewezen als weesgeneesmiddel

Leuven (België) – 23 oktober 2017, 7:00h CEST – TiGenix NV (Euronext Brussels en NASDAQ: TIG), een geavanceerd biofarmaceutisch bedrijf gericht op het gebruik van de ontstekingsremmende eigenschappen van allogene of van een donor afkomstige stamcellen voor de ontwikkeling van nieuwe therapieën voor ernstige medische aandoeningen, kondigt vandaag aan dat de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) Cx601 heeft aangewezen als weesgeneesmiddel (Orphan Drug Designation - ODD) voor de behandeling van patiënten met fistelvorming bij de ziekte van Crohn.

TiGenix startte in de eerste helft van 2017 met een globaal klinisch fase-III-onderzoek ten behoeve van de toekomstige aanvraag bij de FDA in de VS van een biologische vergunning of *Biologics License Application (BLA)* voor Cx601, het eerste in zijn categorie, allogene celtherapieproduct voor de behandeling van complexe perianale fistels bij patiënten met de ziekte van Crohn die onvoldoende hebben gereageerd op ten minste één conventionele of biologische therapie. Tegelijkertijd zoekt TiGenix naar snellere wegen voor een korter proces van indiening en toetsing ten behoeve van de goedkeuring door de Amerikaanse regelgevende instanties.

“De toekenning van de status van weesgeneesmiddel door de FDA is een belangrijke stap voorwaarts in het ontwikkelingsprogramma van Cx601”, zegt Dr. María Pascual, vicepresident Regulatory Affairs and Corporate Quality bij TiGenix. “De erkenning door de FDA van Cx601 als weesgeneesmiddel brengt een aantal potentiële financiële voordelen met zich mee en ligt in de lijn van onze voortdurende inspanningen om snellere wegen te vinden voor de goedkeuring van het product in de VS”.

De FDA verleent de status van weesgeneesmiddel aan nieuwe producten voor de behandeling van aandoeningen waardoor minder dan 200.000 mensen getroffen zijn, met de bedoeling om te kunnen voorzien in geneesmiddelen voor zeldzame ziektes. De aanwijzing brengt aanzienlijke voordelen met zich mee voor de aanvrager, waaronder zeven jaar marktexclusiviteit vanaf de goedkeuring van de lancering van het product, belastingvoordelen voor de klinische onderzoekskosten, de mogelijkheid van specifieke subsidies voor weesgeneesmiddelen en de vrijstelling van bepaalde overheidstarieven.

Voor meer informatie

Claudia Jiménez

Senior Director Investor Relations and Communications

Tel: +34918049264

Claudia.jimenez@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 hoofdproduct 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. Een aanvraag voor de goedkeuring van Cx601 is ingediend 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, is in 2017 van start gegaan. TiGenix heeft een licentieovereenkomst afgesloten met Takeda, 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 vestigingen in Madrid (Spanje) en Cambridge, Massachusetts (VS). 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); aan zowel het primaire eindpunt als het veiligheids- en werkzaamheidsprofiel werd voldaan bij patiënten die behandeld werden met Cx601, die 44% meer kans hadden op een gecombineerde remissie dan patiënten uit 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.ⁱ 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 beslissing van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP). Een wereldwijd fase III klinisch onderzoek (ADMIRE-CD_II), bedoeld als ondersteuning van een toekomstige Amerikaanse 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) (clinicaltrials.gov; NCT03279081). ADMIRE-CD II 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. In juli 2016 sloot TiGenix een licentieovereenkomst met Takeda, 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 verwierpt 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.

ⁱ 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.