

TiGenix confirma la orientación estratégica a Cx601 y la plataforma de células madre derivadas del tejido adiposo (eASC)

Lovaina (BÉLGICA) - 20 de diciembre de 2017, 07.00 h CET - TiGenix NV (Euronext Brussels y NASDAQ: TIG) (“TiGenix o “la Compañía), 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 tiene previsto concentrar sus recursos y capacidades en su plataforma tecnológica eASC y en sus productos candidatos Cx601 y Cx611.

Esta decisión sigue al reciente dictamen positivo del CHMP sobre Cx601 para tratar fístulas perianales complejas en la enfermedad de Crohn, que supone un paso más hacia la comercialización de este producto en Europa y pone de relieve el potencial del uso de células madre alogénicas derivadas de tejido adiposo en el tratamiento de condiciones inflamatorias asociadas con enfermedades inmunomediadas.

“Ahora que Cx601 ha recibido un dictamen positivo en Europa, hemos revisado nuestras prioridades estratégicas más allá de nuestro compromiso con el desarrollo de Cx601 para el mercado estadounidense y de Cx611 para la septicemia”, comentó Eduardo Bravo, CEO de TiGenix. “Estamos convencidos de que Cx601 tiene un enorme potencial en otras indicaciones y de que podremos generar más valor para los accionistas si orientamos nuestros recursos a ensayos en esas áreas. Hemos llevado a cabo un estudio exhaustivo que nos ha permitido identificar tres nuevas indicaciones atractivas, para las que planeamos desarrollar Cx601 de cara a expandir su mercado potencial.”

El 15 de diciembre de 2017 TiGenix anunció que Cx601 había recibido un dictamen positivo del CHMP para el tratamiento de fístulas perianales complejas en pacientes adultos con enfermedad de Crohn luminal inactiva o de intensidad media que no han respondido como se esperaba al menos a un tratamiento biológico o convencionalⁱ. Según un acuerdo firmado en julio de 2016, Takeda Pharmaceuticals, una importante empresa farmacéutica en el ámbito de la gastroenterología, adquirió un derecho exclusivo de desarrollo y comercialización de Cx601 para fístulas perianales complejas en pacientes con enfermedad de Crohn fuera de EE. UU. TiGenix conserva plenos derechos sobre el producto en EE. UU. y está realizando un ensayo clínico global Fase III (ADMIRE-CD II) concebido para apoyar una futura solicitud de autorización de productos biológicos (*Biologic License Application*, BLA) en EE. UU.

TiGenix conserva plenos derechos sobre el desarrollo de Cx601 en otras indicaciones y ha identificado una serie de áreas dentro de las enfermedades fistulizantes que presentan graves necesidades médicas no cubiertas y tienen puntos en común con las fístulas perianales complejas en la enfermedad de Crohn, en términos de desarrollo de la enfermedad y formas de tratamiento. La Compañía está trabajando con el Comité Científico Asesor para determinar el plan de desarrollo clínico más apropiado para cada una de esas indicaciones antes de discutirlo en las reuniones de asesoramiento de los reguladores científicos.

TiGenix también sigue haciendo progresos con su ensayo clínico fase I/II SEPCELL para evaluar Cx611 en el tratamiento de septicemia grave secundaria a neumonía extrahospitalaria (sCAP) en pacientes que requieren ventilación mecánica y/o vasopresores. La septicemia es una complicación potencialmente mortal de una infección y todos los años afecta a más de 15 millones de pacientesⁱⁱ, la mitad de los cuales fallecenⁱⁱⁱ. Existe una urgente necesidad de mejorar el tratamiento actual y, gracias a su innovador mecanismo de actuación, Cx611 puede ser una buena alternativa para tratar la septicemia grave atacando la disfunción inmunológica subyacente. Las eASC han demostrado su capacidad de modular la inflamación y reducir los índices de mortalidad por septicemia en animales.

Se demostró un perfil favorable de seguridad y tolerabilidad de Cx611 en un ensayo Fase I completado en 2015.

Teniendo en cuenta que TiGenix va a centrarse en Cx601 y la tecnología de células madre derivadas del tejido adiposo, la Compañía no continuará invirtiendo en I+D de su tecnología de células madre cardíacas y revisará las alternativas a la inversión en esta tecnología.

Más información:

TiGenix

Claudia Jiménez
Senior Director IIRR and Communications
T: +34 91 804 92 64
claudia.jimenez@tigenix.com

Comco

Abigail Diaz-Agero / Carlota Vicén
Tel: +34 4361800
tigenix@comco.es

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 expandidas 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. 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, por el cual 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 (o procedentes de donantes) expandidas derivadas de tejido adiposo (expanded adipose-derived stem cells, eASC) que se administra de forma local para el tratamiento de las fístulas perianales complejas en pacientes adultos con la enfermedad de Crohn que previamente han mostrado una respuesta inadecuada a al menos a un tratamiento biológico o 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. Cx601 recibió la denominación de medicamento huérfano de la Comisión Europea en 2009 y de la Agencia de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) de EE. UU. en 2017. TiGenix completó un ensayo clínico europeo fase III (ADMIRE-CD) en agosto de 2015 en el que se pudo confirmar tanto el criterio de valoración principal como el perfil de seguridad y eficacia. Los pacientes que recibían Cx601 mostraban una probabilidad un 44% mayor de remisión combinada en comparación con el control (placebo)^{iv}. En los análisis de seguimiento a las 52^v y a las 104 semanas post-tratamiento se confirmó el perfil continuado de eficacia y seguridad del producto. Los resultados positivos en la semana 24 del ensayo fase III ADMIRE-CD se publicaron en The Lancet en julio de 2016. A partir de estos resultados, TiGenix presentó una solicitud de autorización de comercialización de este medicamento ante la Agencia Europea de Medicamentos (European Medicines Agency, EMA) y recibió una opinión positiva del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) en diciembre de 2017. En paralelo, en 2017 se inició un ensayo clínico global fase III (ADMIRE_CD_III) con la intención de apoyar una futura

solicitud de autorización de productos biológicos en 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; 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 cual 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.

Sobre Cx611

Cx611 es una suspensión de células madre alogénicas expandidas (eASC) derivadas de tejido adiposo que se administra de forma intravenosa y se usa para el tratamiento de la septicemia severa. La septicemia es una complicación potencialmente mortal de una infección, que deriva en inflamación generalizada e insuficiencia de los órganos y constituye la causa principal de muerte en el mundo occidental. En mayo de 2015, TiGenix completó un ensayo fase I en septicemia (CELLULA), en el que se demostraron la seguridad favorable y el perfil de tolerabilidad de Cx611. En base a los resultados de este estudio, TiGenix puso en marcha un ensayo fase I/II (SEPCELL) en 2016, en el que se evalúa Cx611 en el tratamiento de la septicemia severa derivada de neumonía extrahospitalaria (community-acquired pneumonia, CAP) en pacientes con necesidad de ventilación mecánica y/o vasopresores. El primer paciente fue tratado en enero de 2017 y se espera obtener datos en 2019. El ensayo ha recibido financiación del programa de investigación e innovación Horizon 2020, promovido por la Unión Europea, en el marco del acuerdo de subvención nº 681031 y se está llevando a cabo a través del consorcio SEPCELL, que reúne a seis socios de cuatro países europeos. Para obtener más información, por favor visite www.sepcell.eu.

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 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 basan dichas declaraciones, previsiones o estimaciones, excepto en la medida exigida por la ley belga.

ⁱ Agencia Europea de Medicamentos. Disponible en: http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2017/12/news_detail_002873.jsp&mid=WC0b01ac058004d5c1. Visitado el 15 de diciembre de 2017.

ⁱⁱ The Lancet Infectious Diseases, vol. 12, nº 2, p. 89, febrero 2012.

ⁱⁱⁱ Martin GS, *Expert Rev Anti Infect Ther.*, junio 2012, 10(6): 701-706.

^{iv} 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): 1281-1290.

^v Panés J, García-Olmo D, Van Assche G, *et al.*, 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 randomized controlled trial. ECCO 2017; Barcelona: Abstract OP009.