

PRESSMEDDELANDE

Uppdatering av ConfldeS fas 3-studie av imlifidase i högsensitiserade njurtransplantationspatienter

Ansökan om marknadsgodkännande (BLA) förväntas lämnas in 2025

Lund, Sverige, 11 oktober 2023. Hansa Biopharma, "Hansa" (Nasdaq Stockholm: HNSA), en pionjär inom enzymteknik för sällsynta immunologiska sjukdomar, meddelade idag att randomiseringen till den amerikanska ConfldeS-studien förväntas avslutas i mitten av 2024. ConfldeS-studien är en oblindad, kontrollerad, randomiserad fas 3-studie som utvärderar njurfunktion efter tolv månader hos högsensitiserade (cPRA \geq 99,9 %) njurtransplanterade patienter med positiv korstestning mot en avliden donator, och jämför desensitisering med imlifidase mot standardbehandling.¹ Hansa planerar att lämna in en ansökan om marknadsgodkännande (Biologics License Application) enligt förfarandet för accelererat godkännande till amerikanska läkemedelsverket (FDA) under 2025.

För att påskynda randomiseringen har Hansa ökat det totala antalet center till 25, fortsatt rekryteringen utöver de planerade 64 patienterna och ändrat prövningsprotokollet för att potentiellt möjliggöra ett bredare urval donatorer för organallokering. För närvarande är 87 patienter inskrivna i studien på 16 aktiverade center och ytterligare nio center håller på att aktiveras.

Søren Tulstrup, vd och koncernchef för Hansa Biopharma, säger: "Vad vi nu vet är att det kan ta allt från en vecka till flera månader att identifiera och screena patienter för denna prövning, beroende på patient-, donator- och centerspecifika faktorer, däribland patientens allmänna hälsa och närheten till centret. Till skillnad från andra kliniska studier där behandling kan startas direkt när patienterna uppfyller vissa kriterier är denna studie till stor del beroende av att lämpliga organ tilldelas redan rekryterade patienter. Organallokeringen i USA sköts av en oberoende tredje part. Med detta i åtanke tar randomiseringen veckor och till och med månader i de flesta fall. Vi uppskattar det pågående engagemanget och hängivenheten bland de deltagande prövningscentren och är fokuserade på att ta denna viktiga kliniska studie i mål."

I ConfldeS-studien utvärderas imlifidase som en potentiell desensitiseringsbehandling för att möjliggöra njurtransplantation för högsensitiserade patienter som väntar på en njure från en avliden donator via det amerikanska njurallokeringsystemet (Kidney Allocation System). Studiens primära endpoint är njurtransplantatets funktion vid tolv månader, mätt som eGFR (mått på njurfunktion) hos högsensitiserade njurpatienter efter en njurtransplantation som möjliggjorts med imlifidase. Den kliniska studien kräver randomisering av 64 högsensitiserade njurtransplantationspatienter med en cPRA på \geq 99,9 procent, vilka representerar en subpopulation med mycket högsensitiserade patienter.

Uppdatering av den kliniska pipelinen

Hansa har gjort goda framsteg i rekryteringen av patienter till två viktiga studier inom autoimmuna sjukdomar.

- **GOOD-IDES-02:** Nio av ett mål på 50 patienter har rekryterats till denna globala pivotala fas 3-studie i anti-GBM-sjukdom (anti-glomerular basement membrane)²
- **Prövarinitierad studie inom ANCA-associerad vaskulit:** Tre av tio patienter har rekryterats till denna enarmade fas 2-studie som pågår vid ett enda center³

Som tidigare meddelats, förväntar Hansa sig också att uppnå flera milstolpar i slutet av 2023.

- **17-HMedldeS-14 (långtidsuppföljningsstudie vid njurtransplantation), femårsavläsning av data:** En utökad poolad analys från 17-HMedldeS-14-studien, en långsiktig uppföljningsstudie av patienter som har fått en njurtransplantation efter desensitisering med imlifidase⁴
- **15-HMedldeS-09 (Guillain-Barrés syndrom - GBS), resultat:** En oblindad, enarmad fas 2-studie vid flera center som undersökte säkerhet, tolerabilitet, effektivitet, farmakodynamik och farmakokinetik för imlifidase hos patienter med GBS, i jämförelse med matchade kontrollpatienter⁵
- **16-HMedldeS-12 (antikroppsmedierad transplantatavstötning - AMR), resultat:** En randomiserad, oblindad, kontrollerad fas 2-studie på flera center som utvärderade säkerhet, tolerabilitet och effektivitet av imlifidase jämfört med plasmabyte (PE) vid avlägsnande av donatorspecifika antikroppar (DSA) hos patienter med aktiva och kroniska aktiva antikroppsmedierade avstötningsepisoder⁶
- **Förbehandling inför Sareptas genterapi inom Duchennes muskeldystrofi (DMD), fas 1b:** Inledning av en klinisk studie som ska utvärdera imlifidase som förbehandling hos patienter med IgG-antikroppar mot Sareptas AAV-baserade genterapi för behandling av DMD, delandistrogene moxeparvovec

Kommersiell uppdatering

Nettoomsättningen uppgick under tredje kvartalet (Q3) till 22,8 MSEK, varav 16,5 MSEK är produktförsäljning. Omsättningen hittills under året uppgår till 83,7 MSEK, varav 60,4 MSEK avser produktförsäljning.

Under det tredje kvartalet har vi ingått flera nya leveransavtal med ledande transplantationscenter i Europa. Dessa förväntas leda till ökad kommersiell försäljning under det fjärde kvartalet och framöver tack vare nya marknader som till exempel Storbritannien, Tyskland och Belgien, där identifiering av patienter pågår i takt med att organ blir tillgängliga.

Totala likvida medel uppgick till 908 MSEK (83 MUSD) vid utgången av september 2023, vilket förväntas finansiera Hansas verksamhet in i 2025, som tidigare meddelats.

Hansa publicerar sin delårsrapport för januari–september 2023 den 26 oktober 2023 kl. 8.00 CET

Alla intresserade parter inbjuds att delta i en telefonkonferens samma dag kl. 14.00 CET/8.00 EST, som kommer att inkludera en presentation av delårsresultatet och en verksamhetsuppdatering. Vårdar för evenemanget är Hansa Biopharmas VD Søren Tulstrup, CCO och US President Matthew Shaulis och CFO Donato Spota. Presentationen kommer att hållas på engelska.

De bilder som används under presentationen kommer under telefonkonferensen att finnas tillgängliga på bolagets webbplats under Presentationer och kommer även att finnas tillgängliga på webben efter telefonkonferensen. [Länk till presentationen](#)

Använd nedanstående uppringningsuppgifter om du önskar delta i telefonkonferensen:

Sverige: +46 812 410 952

Storbritannien: +44 203 769 6819

USA: +1 646 787 0157

Deltagarens åtkomstkod: 765135

Webbsändningen kommer att finnas tillgänglig på <https://hansabiopharma.eventcdn.net/events/q3-2023-conference-call>

Denna information är sådan som Hansa Biopharma AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 11 oktober 2023 kl. 18:35 CET.

--- SLUT PÅ PRESSMEDDELANDET ---

Kontaktpersoner för mer information:

Klaus Sindahl, *Head of Investor Relations*

M: +46 (0) 709 298 269

E: klaus.sindahl@hansabiopharma.com

Stephanie Kenney, *VP Global Corporate Affairs*

M: +1 (484) 319 2802

E: stephanie.kenney@hansabiopharma.com

Imlifidase

Imlifidase är ett unikt antikropps-klyvande enzym från *Streptococcus pyogenes* som specifikt inriktar sig på IgG-antikroppar (immunglobulin G) och förhindrar en IgG-medierad immunreaktion.⁷ Verkningsförloppet är snabbt och IgG-antikropparna klyvs och inaktiveras inom några timmar efter administreringen. Effekten och säkerheten hos imlifidase som behandling för att minska donatorspecifika IgG före transplantation har undersökts i fyra öppna enarmade fas 2-studier under sex månader.⁸⁻¹¹

Imlifidase har ett villkorat godkännande i EU och marknadsförs under handelsnamnet Idefirix® för desensitiseringsbehandling av högsensitiserade vuxna njurtransplantationspatienter med en positiv korstestning mot en tillgänglig avliden donator. Användningen av imlifidase bör förbehållas patienter som sannolikt inte kommer att erbjudas transplantation inom ramen för det tillgängliga systemet för tilldelning av njurar, inklusive program för att prioritera högsensitiserade patienter.⁷ Imlifidase har prövats inom ramen för EMA:s (Europeiska läkemedelsmyndighetens) PRIME-program (Priority Medicines), som stödjer läkemedel som erbjuder en avgörande behandlingsfördel jämfört med befintliga behandlingar eller hjälper patienter som saknar andra behandlingsalternativ.⁷

Imlifidase är en ny och lovande strategi för desensitisering av transplantationspatienter med donatorspecifika antikroppar (DSA-antikroppar) mot HLA-antigener.⁸ Högsensitiserade patienter har höga halter av dessa tidigare bildade antikroppar av IgG-typ som kan binda till donatornjurens och skada den.¹² Imlifidase inaktiverar antikropparna och ger möjlighet att genomföra en transplantation. När kroppen sedan börjar producera nya IgG-antikroppar får patienten immunsuppressiv behandling efter transplantationen för att minska risken för organavstötning.

HMedldeS program för kliniska prövningar

17-HMedldeS-14 är en del av HMedldeS kliniska program för imlifidase. Programmet omfattar fyra globala fas 2-studier (13-HMedldeS-02, 13-HMedldeS-03, 14-HMedldeS-04 och 15-HMedldeS-06), en öppen fas 3-studie i USA (ConfldeS), en långtidsuppföljningsstudie (17-HMedldeS-14) och en effekt- och säkerhetsstudie i Europa (PAES) efter godkännandet.

Om njursvikt och högsensitiserade patienter

Njursjukdomar kan leda till njursvikt eller njursjukdom i terminalfas (ESRD, End-Stage Renal Disease), vilket innebär att en patients njurfunktion understiger 15 procent.¹³ ESRD utgör en betydande sjukdomsburda, och för närvarande lever nästan 2,5 miljoner patienter världen över med sjukdomen.¹² En njurtransplantation är det bästa behandlingsalternativet för lämpliga ESRD-patienter, eftersom det ger en bättre överlevnadschans och livskvalitet jämfört med långvarig dialys. Det finns ungefär 80 000 njurpatienter på väntelistor för transplantation inom EU.¹³

Högsensitiserade patienter har förbildade antikroppar som kallas donatorspecifika antikroppar (DSA) med en bred reaktivitet mot humana leukocytantigen (HLA), vilket kan orsaka vävnadsskador och potentiellt avstötning av transplanterat.¹⁴ Förekomsten av DSA innebär att högsensitiserade patienter tenderar att ha begränsad eller ingen tillgång till transplantation, eftersom det kan vara särskilt svårt att hitta ett kompatibelt donatororgan.^{15,16} Komplexiteten i deras immunologiska profil innebär att högsensitiserade patienter tillbringar längre tid än genomsnittet på väntelistorna för transplantationer, och det finns belägg för att en längre väntetid på en lämplig

donator kan kopplas till en ökad risk att avlida.^{15,16} I USA och Europa utgör högsensitiserade patienter cirka 10–15 procent av alla patienter på väntelistorna för transplantationer.^{17,18}

Om Hansa Biopharma

Hansa Biopharma är ett banbrytande biofarmabolag i kommersiell fas som utvecklar innovativa, livräddande och livsförändrande behandlingar för patienter med sällsynta immunologiska sjukdomstillstånd. Hansa har utvecklat en ledande enzymbehandling för klyvning av IgG-antikroppar (immunoglobulin) som ger högsensitiserade patienter möjlighet till njurtransplantation. Hansa har ett omfattande och växande forsknings- och utvecklingsprogram baserat på företagets egenutvecklade enzymteknologiplattform för IgG-klyvning. Målet är att tillgodose medicinska behov inom transplantation, autoimmuna sjukdomar, genterapi och cancer. Hansa Biopharma är baserat i Lund och har verksamhet i Europa och USA. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm under kortnamnet HNSA. Läs mer på www.hansabiopharma.com.

Fullständig produktinformation kan fås via produktresumén [här](#).

Referenser

1. Trial NCT05714514. Finns på <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05714514?intr=imlifidase&aggFilters=status:rec&rank=6>
2. Trial NCT05679401. Finns på <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05679401?intr=imlifidase&aggFilters=status:rec&rank=4&page=1&limit=10>
3. EUDRA CT Nummer: 2021-004706-22. Finns på <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search?query=2021-004706-22>
4. Trial NCT03611621. Finns på <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03611621?rank=1&limit=10&intr=imlifidase%20&aggFilters=status:com>
5. Trial NCT03943589. Finns på <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03943589?rank=1&limit=10&intr=imlifidase%20&cond=Guillain-Barré%20Syndrome>
6. Trial NCT03897205. Finns på <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03897205?rank=2&limit=10&intr=imlifidase%20&cond=Antibody-mediated%20Rejection>
7. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Idefirix® Summary of Product Characteristics (produktresumé) Finns på: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/idefirix-epar-product-information_en.pdf. Senaste besök: Juni 2023
8. Jordan SC, et al. N Engl J Med 2017; 377(5):442-453
9. Winstedt L, et al. PLoS One 2015; 10(7): e0132011
10. Lorant T, et al. Am J Transplant 2018;18(11):2752-2762.
11. Jordan SC, et al. Transplantation 21 oktober 2020 – online-utgåva, första utgåvan
12. Manook M, et al. Lancet 2017; 389(10070):727-734.
13. NIH (2018). What is kidney failure? Finns på: <https://www.niddk.nih.gov/health-information/kidney-disease/kidney-failure/what-is-kidney-failure>.
14. Eurostam-rapport ("A Europe-wide strategy to enhance transplantation of highly sensitized patients on the basis of acceptable HLA mismatches.") Finns på <https://cordis.europa.eu/project/id/305385/reporting>.
15. Redfield R, et al. Nephrol Dial Transplant 2016; 31:1746–1753
16. Lonze BE, et al. Ann Surg 2018; 268(3):488–496
17. EDQM. (2020). International figures on donation and transplantation 2019.
18. SRTR-databasen och individuella bedömningar av allokeringsystem.