



PILA PHARMA AB

Västergatan 1
211 21 Malmö
Sweden

pilapharma.com

Malmö, 22 april, 2022

Pila Pharma bygger pipeline - ansöker om Orphan Drug Designation i USA

Pila Pharma AB meddelar att bolaget har ansökt om Orphan Drug Designation (särsläkemedelsstatus) vid U.S. Food and Drug Administration, FDA, för utvecklingskandidaten XEN-D0501. Syftet är att ta fram en behandling av en sjukdom förknippad med smärta på grund av neurogen inflammation.

Pila Pharmas utvecklingskandidat XEN-D0501 är under utveckling för behandling av typ 2-diabetes. Förberedelser pågår enligt plan för kommande kliniska tester i fas 2b. Bolagets läkemedelskandidat fungerar grovt förenklat så att den hämmar, aktiviteteten hos kroppens TRPV1-receptorer. TRPV1 har flera funktioner i kroppen och bland annat har upptäckten av dess roll vid smärta belönats med 2021 års Nobelpris i medicin.

Förutsatt att Orphan Drug Designation erhålls av FDA, avser Pila Pharma att söka finansiering för att initiera kliniska fas 2/3-studier för att testa säkerheten och effekten av XEN-D0501 vid den sällsynta sjukdomen i syfte att registrera en produkt med särsläkemedelsstatus.

VD Dorte X. Gram kommenterar:

”Jag är verkligen glad över att vi nu offentligt kan dela vad vi har arbetat med internt de senaste månaderna. Denna ansökan markerar en ny fas i Pila Pharmas historia med aktiv utforskning av alternativa indikationer där XEN-D0501 eller dess analoger kan vara användbara. Vi har haft ögonen på flera andra indikationer ett tag, bland annat denna specifika sällsynta sjukdom, men det är först nu vi har den kompetens, resurser och de samarbetsavtal som gör att vi kan starta nya projekt. Vi har tidigare sagt att XEN-D0501 har potential att vara användbar som behandling för andra sjukdomar där neurogen inflammation spelar roll, och vi kommer att fortsätta på den vägen för att på sikt utveckla en pipeline med fokus på TRP som plattformsteknologi.”

Pila Pharma har tagit fram denna ansökan i samarbete med Worldwide Clinical Trials, en kontraktforskningsorganisation, CRO, med verksamhet i USA och med specialkompetens inom klinisk utveckling av läkemedelssubstanser.

Ett godkännande av ansökan om Orphan Drug Designation innebär att Pila Pharma erhåller en marknadsexklusivitet och andra fördelar för XEN-D0501 för behandling av denna specifika sjukdom i USA under sju år efter registrering.

För mer information:

Dorte X. Gram, VD

M: +46 (0)73 903 6969

E: dxg@pilapharma.com



Om PILA PHARMA (PUBL)

PILA PHARMA är ett svenskt bioteknik-företag inom diabetesforskning med säte i Malmö. Bolagets mål är att utveckla en överlägsen ny medicin i tablettform mot typ 2-diabetes. Bolaget äger användarpatent för behandling av diabetes och fetma med TRPV1-antagonister samt immateriella rättigheter för utveckling av produktkandidaten XEN-D0501. Bolaget noterades på Nasdaq First North GM i Stockholm i juli 2021 i syfte att finansiera den fortsatta utvecklingen av XEN-D0501. API är färdigställt för ytterligare tre månaders prekliniska studier för att medge bolaget att gå vidare den huvudsakliga tre månaders fas 2b-studien i diabetespatienter. Studien är planerad att starta under första delen av 2023.

Om XEN-D0501 och TRPV1-antagonister

XEN-D0501 är en mycket selektiv och potent liten molekyl, en TRPV1-antagonist, som tidigare utvecklades av Bayer Healthcare och Xention/Ario Pharma. TRPV1-receptorn (även kallad chilireceptorn) har visat sig ha en roll vid smärta och inflammatoriska sjukdomar och tros även spela en roll vid diabetes. XEN-D0501 förvärvades av PILA PHARMA i mars 2016 på grund av sin mycket goda säkerhets- och biverkningsprofil jämfört med andra TRPV1-antagonister. TRPV1-antagonister som läkemedelsklass har tidigare förknippats med allvarliga biverkningar som till exempel hypertermi (feber) men det har hittills inte varit fallet med XEN-D0501 i åtta kliniska studier. Den maximala tolerabla dosen av XEN-D0501 för icke-diabetiska individer har tidigare satts till 4 milligram två gånger dagligen där man noterade god säkerhet men ingen effekt i icke-diabetiska patienter med överaktiv urinblåsa och kronisk hosta. I november 2018 kunde PILA PHARMA presentera den första kliniska studien (PP-CT01), som visade upp en god säkerhetsprofil av XEN-D0501 vid enstaka doser upp till 8 milligram. Det senaste studieresultatet presenterades i september 2020. Studien (PP-CT02) visade att multipla doser av XEN-D0501 (4 mg två gånger dagligen i 28 dagar) också tolererades väl av patienter med typ 2-diabetes. Därutöver visade studien, med statistisk signifikans jämfört med placebo, att XEN-D0501 stimulerar kroppens insulinrespons vid ett oralt intag av glukos (socker), alltså bevis för mekanismen i insulinreglering (proof of principle).

Om diabetes

Diabetes är en global pandemi med ofattbara 537 miljoner diabetiker vilket motsvarar uppskattningsvis 8-10 procent av världens befolkning. Uppskattningsvis har 90 procent av alla diabetiker typ 2-diabetes, medan cirka 10 procent har typ 1-diabetes. Sjukdomen kan leda till hjärt-kärlsjukdomar som minskar patientens livskvalitet, öka risken för dödsfall samt höga sjukvårdskostnader. Trots att stora framsteg gjorts med behandling av diabetes återstår ett stort omättat behov av behandlingar som är effektiva, säkra och tillgängliga och prisvärda.

Om Worldwide Clinical Trials

Worldwide Clinical Trials är en global, medelstor kontraktsforskningsorganisation, CRO, som tillhandahåller topppresterande utvecklingstjänster i preklinisk fas och i fas 1-4 till bioteknik- och läkemedelsindustrin, med verksamhet i 60 länder inklusive USA. Stora terapeutiska fokusområden är onkologi, neurovetenskap, kardiovaskulära, metabola, och sällsynta sjukdomar.

Bolagets aktie, med kortnamn PILA, är föremål för handel på Nasdaq First North Growth Market med Aqurat Fondkommission AB som Certified Adviser. info@aqurat.se. Tel. 08-684 05 800

Denna information är sådan information som PILA PHARMA AB är skyldig att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades för offentliggörande den 22 april 2022 kl 09.00.