

Fördjupande uppföljning till pressmeddelande om planen inför kommande patientstudier med Apta-1

Efter det senaste pressmeddelandet om Apta-1:s planerade kliniska fas 2-studie i patienter ges ytterligare information och bakgrund till det tänkta studieupplägget med hänsyn till läkemedelskandidatens potential och marknadsmöjligheter. Apta-1 är en immunmodulerande och anti-trombotisk terapi med breda möjliga tillämpningsområden inom akuta inflammatoriska och koagulationsrelaterade sjukdomar. Studieupplägget som presenteras nedan är att betrakta som preliminärt och kommer att finjusteras och optimeras inför studiestart tillsammans med kliniska experter och regulatoriska myndigheter.

En studie med flera olika sjukdomsindikationer för bredare klinisk utvärdering

Den planerade fas 2-studien är tänkt som en så kallad basket trial, vilket innebär att Apta-1:s effekt och säkerhet utvärderas över flera indikationer där inflammations- och koagulationsdrivna mekanismer är centrala. Studien är tänkt att fokusera på nedanstående huvudsakliga indikationsområden som alla är nära kopplade till Apta-1:s förväntade effekter. Det finala upplägget kommer att meddelas efter regulatoriska beslut inför studiestart.

- **Akuta urogenitala sjukdomar** – inklusive prostatit, cystit och uretrit, där okontrollerad inflammation och mikrotromboser kan leda till svåra komplikationer som urosepsis. Den globala marknaden för behandling av denna sjukdomsgrupp beräknas överstiga 10 miljarder USD inom de kommande åren.
- **Inflammatoriska njursjukdomar och akut njurskada (AKI)** – AKI kan uppstå vid infektioner, läkemedelstoxicitet eller sepsis och är en stark prediktor för långsiktiga komplikationer. Apta-1:s anti-inflammatoriska och anti-trombotiska effekter kan potentiellt stabilisera njurfunktionen och minska sjukdomsprogressionen. Marknaden för behandling av njursjukdomar beräknas överstiga 75 miljarder USD.

Andra indikationsområden av intresse där Apta-1 uppvisat starka data:

- **Pulmonella sjukdomar och akuta lungskador** – lungsjukdomar orsakade av bakteriella eller virala infektioner, såsom svår influensa eller covid-19, innebär en hög dödlighet och begränsade behandlingsalternativ. Apta-1:s immunmodulerande och anti-trombotiska mekanismer kan motverka inflammation, förbättra syresättning och minska risken för lungfibros. Marknaden för akuta lungsjukdomar är omfattande, med ett snabbt växande behov av nya behandlingar.
- **Koagulationsrubbningar vid akuta tillstånd** – vid infektioner och trauma genom att modulera koagulationssystemet kan Apta-1 förhindra mikrotromboser och förbättra mikrocirkulationen, vilket kan minska risken för vävnadsskador och organsvikt.

Potential inom rare/orphan-indikationer

Inom ramen för ovan sjukdomsområden finns flera sällsynta och svårbehandlade sjukdomar, som passar Apta-1:s profil, där inflammations- och koagulationsstörningar spelar en avgörande roll. Exempel inkluderar atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom (aHUS), ANCA-Associated Vasculitis (AAV) och andra former av vaskuliter med risk för organsvikt.



Malmö 19 mars 2025

NYHET

Marknaden för orphan drugs växer snabbt och beräknas uppgå till över 250 miljarder USD globalt inom de kommande åren. Att erhålla orphan drug designation kan innebära regulatoriska fördelar, marknadsexklusivitet och snabbare kommersialisering, vilket kan stärka Apta-1:s position som en unik behandling inom dessa sällsynta sjukdomsområden.

Studieupplägg

- **Design:** En öppen fas 2-studie i patienter med akut urogenital och renal sjukdom.
- **Intervention:** Apta-1 administreras som en singel-dos uppdelad i två infusioner med 45 minuters mellanrum.
- **Utvärdering av effekt och säkerhet:** Utöver effekt avses att utvärdera säkerhet och tolerabilitet av Apta-1 på organ/biomarkörer för bland annat inflammation och blodkoagulation samt kliniskt förlopp.

Marknad och framtida möjligheter

Apta-1 kan potentiellt ha positiva effekter inom flera terapiområden där inflammations- och koagulationsdrivna mekanismer spelar en central roll. Med en ökande efterfrågan på innovativa behandlingar inom urogenitala, renala och inflammatoriska sjukdomar har Apta-1 potential att bli en 'first-in-class'-behandling med betydande marknadsandelar.

För ytterligare information:

Aptahem AB
Mikael Lindstam, VD
Tel: 0766-33 36 99
Epost: ml@aptahem.com

Kort om Aptahem

Aptahem AB (APTA) är ett bioteknikbolag i klinisk fas som utvecklar RNA-baserade behandlingar för livshotande, akuta, tillstånd där koagulation, inflammation och vävnadsskada samverkar i sjukdomsprocessen. Bolagets huvudkandidat, Apta-1, befinner sig i tidig klinisk fas. I prekliniska studier har Apta-1 genom sina antitrombotiska, immunmodulerande och vävnadsreparerande egenskaper visat på mycket goda och lovande resultat för behandling av sepsis och kritiska tillstånd förknippade med sepsis. För mer information, besök www.aptahem.com.