

13.10.2021

ביולין אר. אקס. מדווחת על תוצאות חיוביות מהמחקר הפארמקו-כלכלה למיצוב Motixafortide כטיפול המקובל בניוד תאי גזע

- התוצאות מציגות יתרון כלכלי משמעותי לטובת השימוש ב-Motixafortide בשילוב עם G-CSF כטיפול המקובל עבור ניוד תאי גזע בכלל חולי מיאלומה נפוצה המיועדים להשתלה אוטולוגית -

- תוצאות המחקר, שתוכנן מראש, המתווספות לתוצאות יוצאות הדופן והמשמעותיות קלינית, מהניסוי הקליני GENESIS, Phase 3, שדווחו בחודש מאי השנה, תומכות באופן ניכר במיצוב Motixafortide כטיפול המקובל עבור ניוד תאי גזע -

ביולין אר. אקס. (נאסד"ק/ת"א BLRX), חברה ביופרמצבטית בשלבי פיתוח קליניים מתקדמים שמתמקדת באונקולוגיה, דיווחה היום על תוצאות חיוביות ממחקר הפארמקו-כלכלה לבחינת Motixafortide ומיצובו כטיפול המקובל עבור ניוד תאי גזע בשילוב עם G-CSF (granulocyte colony stimulating factor) - הטיפול המקובל כיום באינדיקציה זו, לעומת G-CSF בלבד, בחולי מיאלומה נפוצה המיועדים להשתלה אוטולוגית (עצמית). המחקר, אשר תוכנן מראש, בוצע על-ידי צוות ה- Global Health Economics and Outcomes Research (HEOR), מקבוצת IQVIA, במקביל לניסוי הקליני GENESIS, Phase 3. תוצאות אלו, המתווספות לתוצאות יוצאות הדופן והמשמעותיות קלינית מהניסוי הקליני GENESIS, תומכות באופן ניכר במיצוב Motixafortide כטיפול המקובל, בשילוב עם G-CSF, עבור ניוד תאי גזע לצורך השתלה אוטולוגית.

מהמחקר עולה כי שילוב של Motixafortide עם G-CSF גורם לירידה מובהקת מבחינה סטטיסטית בניצול משאבי מערכת הבריאות בתהליכי ההשתלה האוטולוגית, לעומת G-CSF בלבד. לאור הכמות הגבוהה משמעותית של תאי הגזע שניידו והמספר הנמוך של מחזורי האפרזיס שבוצעו, ההערכות הראו שיפור באיכות החיים וחיסכון נטו בסך של כ-17,000 דולר (ללא העלות של Motixafortide) לאורך חיי החולה, לעומת G-CSF בלבד. תוצאות המחקר העריכו כי השימוש ב-Motixafortide בשילוב עם G-CSF, כטיפול המקובל עבור ניוד תאי גזע לצורך השתלה אוטולוגית עשוי להוות אופציה כדאית כלכלית בארה"ב, וזאת בהתבסס על הסכומים הסטנדרטים שחברות הביטוח מוכנות לשלם.

פיליפ סרליון, מנכ"ל ביולין אר. אקס., אמר: "חסכון העלויות המשמעותי שזוהה במחקר, שתוכנן בקפידה, תומך בהערכת החברה כי Motixafortide, בשילוב עם G-CSF, עשוי להוות הטיפול המקובל החדש עבור כלל חולי מיאלומה נפוצה המיועדים להשתלה אוטולוגית. בהתבסס על תוצאות הניסוי הקליני GENESIS, לפיהן כ-90% מהחולים אספו את מספר התאים האופטימלי להשתלה לאחר מתן אחד בלבד של Motixafortide ומחזור אפרזיס אחד, לעומת פחות מ-10% מהחולים שטופלו ב-G-CSF בלבד, מחקר הפארמקו-כלכלה מעיד כי הטיפול באמצעות Motixafortide

בשילוב עם G-CSF עשוי לחסוך 17,000 דולר עבור כל חולה, ללא העלות של Motixafortide עצמו. חיסכון זה מאפשר לנו גמישות מרבית על מנת ליישם אסטרטגיית תמחור אופטימלית עבור Motixafortide, בהשקעה ולאחריה, במידה ויאושר לרישום.

"חשוב לציין כי מספר נמוך של מתנים ומחזורי אפרזיס מעניקים בטיחות וחיסכון בזמן משמעותיים לחולה. בנוסף, הכמות החציונית הגבוהה משמעותית של תאי גזע שנאספו במחזור אפרזיס אחד – כ-11 מיליון בשימוש ב-Motixafortide בשילוב עם G-CSF, לעומת כ-2 מיליון בשימוש עם G-CSF בלבד – לא רק שמאפשרת השתלה של מספר תאים אופטימלי עם אפשרות לחסכון משמעותי של זמן להשתלה, אלא שהיא גם מאפשרת לשמר כמות מספקת של תאים במידה ותידרש השתלה נוספת בעתיד. לבסוף, רמת וודאות גבוהה יותר לגבי מספר מחזורי האפרזיס הנדרשים עבור ניוד, עשויה לאפשר שימוש יעיל יותר במכשירי האפרזיס בבתי החולים, אשר בד"כ יש בהם מחסור.

"אנו מאמינים כי תוצאות הניסוי הקליני GENESIS, בשילוב עם תוצאות מחקר זה בנושא הפארמקו-כלכלה, מבדלים את Motixafortide מכל יתר התרופות לניוד תאים הקיימות כיום בשוק או הנמצאות בפיתוח. במידה ויאושר, Motixafortide יהווה התקדמות משמעותית בניוד תאי גזע, הן מבחינת החולים והן מבחינת חברות הביטוח, ובשל כך, אנו צפויים להגיש כמתוכנן את בקשת ה-NDA (בקשה לרישום המוצר בארה"ב) למנהל התרופות האמריקאי (FDA) במחצית הראשונה של השנה הבאה, " **סיכום מר סרלין.**

אודות מחקר הפארמקו-כלכלה

מחקר הפארמקו-כלכלה ניתח את ניצול משאבי הבריאות במהלך הניסוי הקליני Phase 3, GENESIS, אשר היה אקראי וכלל 122 חולים ב-2 זרועות טיפול: Motixafortide בשילוב עם G-CSF (80 חולים) או פלצבו בשילוב עם G-CSF (42 חולים). המדדים שנכללו בניצול משאבי הבריאות הינם: (1) מספר המתנים של Motixafortide ו-G-CSF וכן מספר מחזורי האפרזיס שבוצעו; (2) שיעור החולים שנוקקו ל"גיוס/ניוד הצלה" (rescue mobilization) לאור שיעור ניוד ראשוני נמוך מאוד, כולל מספר מחזורי האפרזיס שנדרש ומספר מתני ה-G-CSF ו-plerixafor שנדרשו; ו- (3) עלויות אשפוז הקשורות להכנת מח העצם לקראת השתלה ולהשתלה עצמה, כולל משך השהות בבית החולים. מודל המחקר גם לקח בחשבון את שנות החיים המתקוננות לאיכות חיים (quality adjusted life years), כפי שפורסמו בספרות המקצועית. הטיפול ב-Motixafortide בשילוב עם G-CSF הראה קיטון מובהק סטטיסטית בניצול משאבי הבריאות לאורך תהליך ההשתלה האוטולוגית לעומת הטיפול המקובל ב-G-CSF בלבד. בהתחשב במספר תאי הגזע שניודו והמספר הנמוך יותר של מחזורי האפרזיס, ההערכות הראו שיפור באיכות החיים וחיסכון נטו בסך של כ-17,000 דולר (ללא העלות של Motixafortide), לעומת הטיפול המקובל כיום.

אודות הניסוי הקליני GENESIS, Phase 3

הניסוי הקליני GENESIS, Phase 3 (NCT03246529) החל בדצמבר 2017. הניסוי היה אקראי ומבוקר פלצבו ונערך במספר מרכזים, להערכת הבטיחות, הסבילות והיעילות של Motixafortide ו-G-CSF בהשוואה לפלצבו ו-G-CSF, בניוד תאי גזע המטופוטיים לצורך השתלה אוטולוגית בחולי מיאלומה נפוצה. היעד העיקרי של הניסוי היה להוכיח כי מתן יחיד של Motixafortide בשילוב עם G-CSF עדיף על טיפול ב-G-CSF בלבד, כדי לנייד לפחות 6 מיליון תאי גזע בשני מחזורי אפרזיס לכל היותר, כהכנה להשתלה אוטולוגית בחולי מיאלומה נפוצה. יעדים נוספים כללו את הזמן עד להשתלה מוצלחת של נוטרופילים וטסיות, עמידות השתלה לאורך זמן וכן מדדים נוספים של יעילות ובטיחות. כל יעדי הניסוי, העיקריים והמשניים, הושגו בהצלחה ברמת מובהקות סטטיסטית יוצאת דופן ($p < 0.0001$), ובכלל זה כ-

90% מהחולים ניידו את מספר התאים האופטימלי לצורך השתלה, וזאת לאחר מתן אחד בלבד של Motixafortide ולאחר אפרזיס אחד בלבד.

אודות ניוד תאי גזע עבור השתלה אוטולוגית (עצמית)

השתלה אוטולוגית הינה חלק מהטיפול המקובל עבור מספר סרטני דם, בכללותם מיאלומה נפוצה, לימפומה מסוג non-Hodgkin's וכן לימפומות אחרות. בחולים המתאימים לכך, השתלה אוטולוגית מתבצעת לאחר טיפול אינדוקציה (בעיקר כימותרפיה), ובמרבית המקרים נדרשים ביקורים רציפים במרפאה עבור מחזורי הניוד והאפרזיס, ובהמשך אשפוז מלא במהלך תהליכי הכימותרפיה והניוד עד השתלה. הנטל הנובע מתהליך זה הינו משמעותי – החולים חווים הידרדרות רפואית באיכות החיים שלהם, ומשאבי מערכת הבריאות הנדרשים עד ההשתלה האוטולוגית הינם עצומים. לאור זאת, התפתחויות חדשות המשפיעות על תהליך ההשתלה האוטולוגית עשויות להקל בחלק מהנטל הקליני על חולים המיועדים להשתלה, על הנטל הלוגיסטי של יחידות האפרזיס, וכן על הנטל הכלכלי על בתי החולים וחברות הביטוח.

תיאור כללי של תהליך ההשתלה האוטולוגית הינו: (1) ניוד תאי הגזע של החולה עצמו ממח העצם לדם ההיקפי לצורך איסופם באמצעות תהליך אפרזיס; (2) הקפאה ואחסון של התאים שנאספו עד הצורך בהם עבור השתלה; (3) הכנת מח העצם לקראת השתלה באמצעות כימותרפיה במינון גבוה או קרינה, על מנת להרוג את התאים הסרטניים יום לפני ההשתלה; ו-(4) השתלת התאים המאוחסנים חזרה לחולה באופן תת-ורידי באמצעות צנתר.

לצורך ניוד תאי הגזע של החולה ממח העצם לדם ההיקפי לצורך איסופם, הטיפול המקובל כיום כולל 5-8 מתנים יומיים של G-CSF וביצוע של 1-4 מחזורי אפרזיס. חולים שאינם מצליחים לנייד מספיק תאים בתהליך הניוד הראשוני, מקבלים טיפול "הצלה", הכולל 1-4 מתנים של plerixafor בשילוב עם G-CSF, וכן מחזורי אפרזיס נוספים ככל שנדרש. לאור זאת, תרופה עם יכולת ניוד גבוהה יותר עשויה להקטין משמעותית את הנטל הקשור לניוד ואיסוף תאי הגזע וגם את הסיכונים הקשורים לתהליך ההשתלה, ואף להביא לשיפור קליני וירידה בניצול משאבים.

אודות ביולין אר. אקס.

ביולין אר. אקס. הינה חברה ביופרמצבטית הנמצאת בשלבי פיתוח קליניים מתקדמים והמתמקדת באונקולוגיה. בהתאם למודל העסקי של החברה, ביולין רוכשת תרופות חדשניות, מפתחת אותן בשלבים קליניים ולאחר מכן מתקשרת בשיתופי פעולה עם חברות פרמצבטיות לצורך פיתוח קליני מתקדם ו/או מסחור.

תכנית הדגל של החברה, Motixafortide (BL-8040), הינה פלטפורמה לטיפול בסרטן, אשר הצליחה בניסוי קליני Phase 3 בניוד תאי גזע למחזור הדם לצורך השתלת תאי גזע בחולי מיאלומה נפוצה (השתלה אוטולוגית), בגינה גם דיווחה החברה על תוצאות חיוביות מהמחקר הפארמקו-כלכלה שתוכנן מראש, ונמצאת בהכנות לקראת הגשת NDA. Motixafortide נבחן בהצלחה גם בניסוי קליני Phase 2a בסרטן הבלב בטיפול משולב עם קיטורדה® וכימותרפיה וזאת במסגרת הסכם שיתוף פעולה עם MSD (ביולין מחזיקה בכל הזכויות ב-Motixafortide), וכן נבחן כעת בניסוי קליני משולב עם LIBTAYO® וכימותרפיה לטיפול בחולי סרטן לבלב גרורתי בקו טיפול ראשון.

ביולין אר. אקס. מפתחת תכנית אונקולוגית נוספת, AGI-134, אימונותרפיה למגוון גידולים מוצקים, אשר נבחנת בניסוי קליני Phase 1/2a.

מידע נוסף ניתן לקבל באתר החברה, www.biolinerx.com, בו ניתן לעקוב אחר דיווחי החברה ל-SEC, הודעות למשקיעים ואירועים שונים.

מסמך זה מהווה תרגום נוחות בלבד להודעה באנגלית שפורסמה בארה"ב, אשר היא המחייבת מבחינת החברה.

Various statements in this release concerning BioLineRx's future expectations constitute "forward-looking statements" within the meaning of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. These statements include words such as "may," "expects," "anticipates," "believes," and "intends," and describe opinions about future events. These forward-looking statements involve known and unknown risks and uncertainties that may cause the actual results, performance or achievements of BioLineRx to be materially different from any future results, performance or achievements expressed or implied by such forward-looking statements. Factors that could cause BioLineRx's actual results to differ materially from those expressed or implied in such forward-looking statements include, but are not limited to: the initiation, timing, progress and results of BioLineRx's preclinical studies, clinical trials and other therapeutic candidate development efforts; BioLineRx's ability to advance its therapeutic candidates into clinical trials or to successfully complete its preclinical studies or clinical trials; BioLineRx's receipt of regulatory approvals for its therapeutic candidates, and the timing of other regulatory filings and approvals; the clinical development, commercialization and market acceptance of BioLineRx's therapeutic candidates; BioLineRx's ability to establish and maintain corporate collaborations; BioLineRx's ability to integrate new therapeutic candidates and new personnel; the interpretation of the properties and characteristics of BioLineRx's therapeutic candidates and of the results obtained with its therapeutic candidates in preclinical studies or clinical trials; the implementation of BioLineRx's business model and strategic plans for its business and therapeutic candidates; the scope of protection BioLineRx is able to establish and maintain for intellectual property rights covering its therapeutic candidates and its ability to operate its business without infringing the intellectual property rights of others; estimates of BioLineRx's expenses, future revenues, capital requirements and its needs for additional financing; risks related to changes in healthcare laws, rules and regulations in the United States or elsewhere; competitive companies, technologies and BioLineRx's industry; risks related to the COVID-19 pandemic; and statements as to the impact of the political and security situation in Israel on BioLineRx's business. These and other factors are more fully discussed in the "Risk Factors" section of BioLineRx's most recent annual report on Form 20-F filed with the Securities and Exchange Commission on February 23, 2021. In addition, any forward-looking statements represent BioLineRx's views only as of the date of this release and should not be relied upon as representing its views as of any subsequent date. BioLineRx does not assume any obligation to update any forward-looking statements unless required by law.

לפרטים נוספים:

מורן מאיר

LifeSci Advisors, LLC

+972-54-476-4945

moran@lifesciadvisors.com