

21.12.2023

ביולין אר. אקס. מדווחת על מתן טיפול לחולה הראשון בניסוי קליני Phase 1 להערכת motixafortide לצורך ניוד תאי גזע המטופויטיים עבור טיפול גנטי בחולי Sickle Cell

- ניסוי הוכחת ההיתכנות מהווה צעד ראשון לעבר המטרה לזיהוי תרופה יעילה יותר לניוד תאי גזע המטופויטיים לטיפול גנטי בחולי Sickle Cell -

ביולין אר. אקס. (נאסד"ק/ת"א BLRX), חברה ביופרמצבטית בשלב המסחור המתמקדת בטיפולים משני-חיים עבור סוגי סרטן שונים ומחלות נדירות, דיווחה היום על מתן טיפול לחולה הראשון בניסוי הקליני Phase 1 להערכת motixafortide, הן כטיפול יחיד והן בשילוב עם natalizumab, לצורך ניוד תאי גזע המטופויטיים עבור טיפול גנטי בחולי Sickle Cell. ניסוי הוכחת ההיתכנות זה, אשר מתוכנן לגייס חמישה חולי Sickle Cell, מתבצע במסגרת שיתוף פעולה עם בית הספר לרפואה של אוניברסיטת וושינגטון בסנט לואיס, ומטרתו הערכת הבטיחות והסבילות של שני טיפולים אלו.

ד"ר זאכרי כריס, מחטיבת האונקולוגיה של בית הספר לרפואה של אוניברסיטת וושינגטון, והחוקר המוביל של הניסוי, אמר, "טיפולים גנטיים מבוססי ניוד תאי גזע מהווים התקדמות משמעותית בטיפול במחלת Sickle Cell; יחד עם זאת, זיהוי אפשרויות ניוד חדשניות אשר יבטיחו באופן בטוח ומהימן איסוף של כמויות תאי הגזע הנדרשות, הינו רלוונטי וחשוב מבחינה קלינית עבור חולים אלה. זהו תחום מרגש של מחקר קליני אשר יש בו פוטנציאל לעלייה משמעותית בהנגשת טיפולים גנטיים מבוססי ניוד תאי גזע לחולים."

טיפולים גנטיים שאושרו מתבססים על איסוף כמויות משמעותיות של תאי גזע המטופויטיים על מנת לאפשר ייצור תרפויטי של תאי גזע ואחסונם לצורך גיבוי. אולם, תרופות הניוד הקיימות כיום עשויות שלא להניב באופן וודאי את מספר תאי הגזע ההמטופויטיים הנדרשים לצורך טיפול גנטי, ותרופת הניוד הנפוצה כיום, G-CSF, נחשבת כלא בטוחה עבור חולי Sickle Cell. קושי בהשגת כמויות תאי הגזע ההמטופויטיים הנדרשות עלול להאריך את משך זמן הטיפול בחולים ולהגדיל את הנטל הן על החולים והן על מטפליהם.

ד"ר אלה סורני, סמנכ"לית הפיתוח של ביולין אר. אקס., אמרה, "אישור ה-FDA לאחרונה של שתי תרופות גנטיות עבור חולי Sickle Cell בארה"ב הינו התקדמות מרגשת עבור אוכלוסיית חולי Sickle Cell, ואנו נרגשים לקראת קידום תכנית הפיתוח הקלינית של motixafortide, אשר עשוי להוות אופציה נוספת לניוד תאי גזע המטופויטיים עבור חולים

אלו. ברצוננו להודות לחולים אשר לוקחים חלק בשיתוף פעולה חשוב זה עם אוניברסיטת וושינגטון, ואשר תורמים לקידום הבנת הצורך בתחום זה, אשר נותר ללא מענה."

תוצאות ראשוניות מניסוי זה צפויות במחצית השנייה של 2024. Motixafortide, המוצר המוביל של ביוליין, אושר ע"י ה-FDA בספטמבר 2023 לטיפול בשילוב עם filgrastim (G-CSF) לניוד ואיסוף תאי גזע המטופויטיים לצורך השתלה אוטולוגית בחולי מיאלומה נפוצה, תחת שם המוצר APHEXDA®.

אודות הניסוי הקליני של Motixafortide בחולי Sickle Cell

מטרת הניסוי (ClinicalTrials.gov Identifier: [NCT05618301](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05618301)) הינה להעריך את הבטיחות וההיתכנות של motixafortide (מעכב חלבון של CXCR4), הן כטיפול יחיד והן בשילוב עם natalizumab (מעכב חלבון של VLA-4), כטיפולים חדשניים לניוד תאי גזע המטופויטיים לטיפולים גנטיים עבור חולי Sickle Cell. הניסוי צפוי לגייס חמישה חולי Sickle Cell, אשר מטופלים כיום על ידי החלפת הכדוריות האדומות באמצעות אפרזיס. היעד העיקרי של הניסוי הינו הערכת הבטיחות והסבילות (אשר תוגדרנה בהתאם ל-dose limiting toxicities) של motixafortide כטיפול יחיד וכן השילוב של motixafortide עם natalizumab בחולי Sickle Cell. יעדים משניים כוללים את קביעת מספר תאי הגזע ההמטופויטיים וה-progenitor אשר נויידו באפרזיס; וכן קביעת הקינטיקה של תאי הגזע ההמטופויטיים אשר נויידו לדם ההיקפי כתוצאה מהטיפול באמצעות motixafortide בלבד וכן באמצעות motixafortide בשילוב עם natalizumab בחולי Sickle Cell.

אודות מחלת Sickle Cell

מחלת Sickle Cell הינה אחת מהמחלות הגנטיות הנפוצות ביותר בעולם המשפיעה על מיליוני אנשים ברחבי העולם, ובאופן לא פרופורציונלי על אנשים ממוצא אפריקאי. Sickle Cell נגרם ממוטציה בחלבון המוגלובין הגורם בסופו של דבר לייצור תאי דם אדומים חריגים, הדומים לחרמש, אשר נוטים להינעץ בכלי הדם ולסתום אותם. הסימפטומים הקליניים של מחלת Sickle Cell כוללים אנמיה וסתימה בכלי הדם אשר עלולים לגרום לכאבים כרוניים חריפים וכן לפגיעה באספקת דם לאיברים רבים (לדוגמא, שבץ, התקף לב, וכשל נשימתי), ובסופו של דבר אף לגרום לכשל מערכתי כולל. ההשפעה המצטברת של סיבוכים אלו משפיעה באופן משמעותי על רמות התחלואה והתמותה של חולי Sickle Cell.

אודות ביוליין אר. אקס.

ביוליין אר. אקס. הינה חברה ביופרמצבטיית הנמצאת בשלב המסחור ומתמקדת בטיפולים משני-חיים עבור סוגי סרטן שונים ומחלות נדירות. המוצר הראשון של החברה אשר קיבל אישור בארה"ב הינו APHEXDA® (motixafortide) עבור ניוד תאי גזע לחולי מיאלומה נפוצה המיועדים להשתלה אוטולוגית. לחברה צנרת תרופות עבור חולי Sickle Cell, סרטן לבלב וגידולים מוצקים אחרים. עם מטה החברה בישראל, יחד עם פעילות מסחור בארה"ב, החברה מקדמת תרופות חדשניות עם מומחיות מקצה לקצה, החל מתחום הפיתוח ועד לתחום המסחור, ומאפשרת לתגליות משנות-חיים להתקדם מהמעבדה ועד למימוש הפוטנציאל הסופי.

מידע נוסף ניתן לקבל באתר החברה, www.biolinerx.com או ב-Twitter וב-LinkedIn.

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 "anticipates," "believes," "could," "estimates," "expects," "intends," "may," "plans," "potential," "predicts," "projects," "should," "will," and "would," and describe opinions about future events. These include statements regarding management's expectations, beliefs and intentions regarding, among other things, the potential benefits of APHEXDA, the execution of the launch of APHEXDA and the plans and objectives of management for future operations and expectations and commercial potential of motixafortide, as well as its potential investigational uses. These forward-looking statements involve known and unknown risks, uncertainties and other factors 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; whether BioLineRx's collaboration partners will be able to execute on collaboration goals in a timely manner; whether the clinical trial results for APHEXDA will be predictive of real-world results; 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, including the degree and pace of market uptake of APHEXDA for the mobilization of hematopoietic stem cells for autologous transplantation in multiple myeloma patients; whether access to APHEXDA is achieved in a commercially viable manner and whether APHEXDA receives adequate reimbursement from third-party payors; BioLineRx's ability to establish, operationalize 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 and ability to access sufficient additional financing, including any unexpected costs or delays in the commercial launch of APHEXDA; risks related to changes in healthcare laws, rules and regulations in the United States or elsewhere; competitive companies, technologies and BioLineRx's industry; statements as to the impact of the political and security situation in Israel on BioLineRx's business; and the impact of the COVID-19 pandemic, the Russian invasion of Ukraine, the declared war by Israel against Hamas and the military campaigns against Hamas and other terrorist organizations, which may exacerbate the magnitude of the factors discussed above. 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 March 22, 2023. 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

moran@lifesciadvisors.com