

APRIL 2023

HÄLSA + FORSKNING



s.16-17: **PILA PHARMA VILL OCKSÅ UTVECKLA BEHANDLING
AV SÄLLSYNTA SMÄRTFULLA SJUKDOMEN ERYTROMELALGI**

INNOVATIVA LÖSNINGAR FÖR EN FRISKARE FRAMTID

I dagens samhälle där befolkningen inte bara växer sig större, utan även blir allt äldre, väntas vård- och omsorgsbehoven öka kraftigt. Behovet av en välfungerande vårdapparat, framgångsrik forskning och innovativ läkemedelsutveckling tillika medicinteknisk utveckling är helt vital.

För att skapa en vårdkedja där varje patient kan få en för individen optimal behandling, krävs samarbeten över yrkeskategorier, avdelningar, kliniker och aktörer. Den moderna sjukvården måste helt enkelt vara ett resultat av kompetensöverskridande teams gemensamma arbete för att säkerställa en god patientsäkerhet.

Att skapa denna typ av läkemedels-, hälso- och sjukvårdssystem som har kapaciteten att möta individens behov av hälsa, vård och omsorg, och samtidigt effektiviserar och förbättrar arbetsförhållandena för vårdpersonalen, är en utmaning, som trots sin komplexitet, många aktörer har valt att anta. I denna bilaga av Hälsa och forskning har vi förmånen att lyfta flera samhällsomdanande verksamheter, vars arbete är både spännande och avgörande för en friskare framtid.

Ett exempel som illustrerar svensk innovationskraft på ett bra sätt är bioteknikbolaget Pila Pharma. Företaget undersöker läkemedelskandidaten XEN-D0501 att bli världens första tablettbehandling av diabetes. Därtill har de även börjat bredda sin läkemedelsutveckling till behandling av den sällsynta och smärtsamma sjukdomen erytromelalgi. Detta är banbrytande forskning som vi ska vara stolta över.

Vi lyfter även flera regioner och kliniker där man valt att satsa på sin personal och deras karriärväg för att attrahera allt fler talanger och främja kvaliteten i vården. Vi har också talat med medicintekniska företag som drivs av att förändra rådande behandlingar för ökad vårdssäkerhet, effektivitet och kapacitet i såväl operationssalen som i hemmet. Lösningar som i sin tur kan förändra patienters liv.

Att vi blir fler och äldre är trots allt ett tecken på de fina medicinska framsteg som hittills gjorts. Och ju fler vi blir, ju äldre vi blir, desto större möjligheter har vi att genom erfarenhetsöverskridande samarbeten lära av varandra för att göra än större framsteg.

Trevlig läsning!

MARIANNE HULKKO
REDAKTÖR

Hälsa & Forskning är producerad av Human Performance Consulting Sverige AB och distribueras **april 2023**.

Produktion

John Pettersson, Art Director
My Dorup, Editor-in-Chief

Redaktör

Marianne Hulkko
Kristina Bate Holmberg

Projektledare

Alexander Fogde, Projektledare
David Svedberg, Head of Sales

VD

Sebastian Lundborg

Omslag

Pila Pharma



Sebastian Lundborg



9



11



16



18

PILA PHARMA VILL OCKSÅ UTVECKLA BEHANDLING AV SÄLLSYNTA SMÄRTFULLA SJUKDOMEN ERYTROMELALGI

PILA PHARMA UNDERSÖKER LÄKEMEDELSKANDIDATEN XEN-D0501 SOM DIABETESLÄKEMEDEL OCH VILL NU BREDDA TILL BEHANDLING AV SÄLLSYNTA OCH SMÄRTFULLA SJUKDOMEN ERYTROMELALGI

Det malmöbaserade bioteknikbolaget Pila Pharma är utvecklarna bakom läkemedelskandidaten XEN-D0501 – möjligtvis världens första blivande tablettbehandling som blockerar receptorn TRPV1 "chili-receptorn". Det orala läkemedlet har potential att behandla diabetes typ 2 och smärta vid exempelvis erytromelalgi genom reglering av neurogen inflammation – två olika men lika viktiga vägar mot ett friskare samhälle.

Diabetes

Pila Pharma noterades på Nasdaq First North Growth Market under 2021 med huvudmålet att genomföra en 3 månaders fas 2b-studie med TRPV1-antagonisten XEN-D0501 inom diabetes för att påvisa minskning av blodsockret. Teorin bakom läkemedlet är att genom att blockera chilireceptorn, kan den inflammatorisk process som ansvarar för nedsatt insulinfrigörande, avbrytas.

Tidigare fas 2a studier har varit framgångsrika och visat på positiva resultat på insulinfrisättning där biverkningar uteblivit. Sedan noteringen har bolaget jobbat sig genom nödvändiga steg för att ta sig till fas 2b'n, nämligen tillverkning av mer studiemedel (API) för att kunna genomföra 13 veckors prekliniska säkerhetsstudier utan biverkningsproblem, som måste till innan man kan dosera människor i 3 månader. Nyligen avslutades säkerhetsstudierna framgångsrikt och företaget är dock nu i princip redo att gå vidare till fas 2b studien vilket vid bra resultat skulle kunna leda till ett partnerskap med ett större läkemedelsbolag inom 2-3 år för tillsammans att ta XEN-D0501 genom fas 3 till diabetesmarknaden.

Erytromelalgi – en sällsynt sjukdom med smärta till följd

Under 2022 fick Pila Pharma Orphan Drug Designation (särsläkemedelsstatus) i USA för XEN-D0501 som behandling av den sällsynta sjukdomen erytromelalgi. Erytromelalgi ger anfall med rodnad och stark smärta särskilt i fötter

och händer, men även öron, näsa eller i sällsynta fall även andra kroppsdelar. I dagsläget finns inget bra botemedel mot sjukdomen. Amerikanska kontakter som själva är drabbade av erytromelalgi har berättat att 25% av de som drabbas tar livet av sig på grund av dagliga starka smärtor. Att uppnå registrering av ett "orphan" läkemedel kräver mycket mindre och kortare studier än t.ex inom diabetes och vägen fram till registrering är därför betydligt billigare och kortare.

Utmaningen kan vara att hitta patienter att ingå i studien, men bolaget upplever att patienter aktivt tar kontakt (både här i Sverige som i USA) för att vilja delta i studien. Bolaget har skissat på en effektiv utvecklingsplan för att nå marknaden inom 3-4 år. Första steg är att visa klinisk "proof of concept"- alltså att XEN-D0501 kan minska smärta i människor. Vid bra resultat kan det leda till att bolaget kan erhålla särsläkemedel status även in Europa och även möjligtvis ett partnerskap med ett större läkemedel bolag inom 1-2 år. Planen är sen att genomföra en kombinerad fas 2/3 som skall kunna leda till registrering, Denna plan skall diskuteras med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA, innan den är helt spikat.

– Vårt huvudsakliga mål är att ta fram ett säkert och effektivt läkemedel till marknaden. Men vi måste anpassa oss till den nya affärsordningen vi lever i där kapitalanskaffning har blivit allt svårare. Här krävs mer flexibilitet eftersom vägen för att nå målen kan se olika ut. Förändringar och turbulens i om-

världen kan få nya vägar att öppna sig som man måste våga ta – och det är exakt vad som har hänt för oss när vi fick särsläkemedel status för XEN-D0501 som behandling av erytromelalgi då det kan göras relativt snabbare och billigare än vid diabetes. Jag drivs både av att skapa bättre hälsa men också av att ge en bra affärsmöjlighet till våra delägare – två parametrar som i min värld går hand i hand. Endast de företag som anammar flexibilitet, de som ser möjligheter istället för hinder och samtidigt håller fokus, är de som överlever utmaningar från omvärlden och kriser tror jag, säger vd Dorte X. Gram.

Diabetes typ 2 är en relativt vanlig sjukdom som ökar globalt med enorm läkemedelsmarknad som resultat. Men vägen fram är relativt lång och dyr. Sjukdomen erytromelalgi är å andra sidan en ovanlig sjukdom med behov av effektiv behandling och som med stöd från myndigheter ändå leder till ett stort marknadsvärde set i relation till investeringen. Vägen till marknaden går genom lite mindre och relativt billigare studier än vid diabetes.

– Två olika typer av kategorier, vägar, patientgrupper, partnerskap, tidsaspekter och investerare. Att stå med dessa två valmöjligheter gör att både vi och våra delägare har flexibilitet i att välja vilken marknad vi går efter och först kommer att stå på. När vi fram till diabetes- och/eller smärtmarknaden kan vi nog göra gott och skapa förutsättningar för god avkastning på investeringar för än fler delägare, avslutar Dorte X. Gram.

Läs mer på pilapharma.com





Pila Pharma team medlemmar: Investor Relations Manager Gustav Hanghøj Gram, CFO Elna Lembrér Áström och vd/ grundare Dorte X. Gram