



**PILA PHARMA AB**

Norra Vallgatan 72  
211 22 Malmö  
Sweden

[pilapharma.com](http://pilapharma.com)

Malmö 15 juli 2022

## **Pila Pharma AB erhåller sär läkemedelsstatus i USA**

Pila Pharma AB (publ) meddelar att US Food and Drug Administration, FDA, har beviljat Orphan Drug Designation (sär läkemedelsstatus) för utvecklingskandidaten XEN-D0501 som behandling av erytromelalgi, en sällsynt sjukdom som orsakar episoder av brännande smärta och rodnad på grund av neurogen inflammation.

Pila Pharmas kandidatmolekyl XEN-D0501 utvecklas annars för behandling av typ 2-diabetes. Förberedelser pågår enligt plan för kliniska tester i fas 2b. Förutom diabetes finns alltså flera indikationer där XEN-D0501 kan ha god effekt, inklusive erytromelalgi, samt andra smärtsamma tillstånd.

FDA:s beviljande av Orphan Drug Designation innebär att Pila Pharma kan utveckla XEN-D0501 som ett nytt läkemedel för att behandla erytromelalgi. För att registrera och erhålla marknadsföringstillstånd krävs bevis på klinisk effekt. Detta öppnar dörren till en potentiellt sjuårig sär läkemedels/marknadsexklusivitet för XEN-D0501 i USA.

Tidiga utvecklingsresultat av XEN-D0501 kan tillgodoräknas från diabetesprojektet och utvecklingen av XEN-D0501 inom denna nya indikation kan således gå direkt till kliniska prövningar i fas 2/3.

Pila Pharma utvärderar nu det mest kostnadseffektiva sättet att kliniskt utveckla XEN-D0501 även inom erytromelalgi för att nå marknaden snarast möjligt till förmån för erytromelalgipatienter och Pila Pharmas aktieägare.

Dr Hans Quiding har anställts som projektledare för arbetet med nya projekt, inklusive ODD-projektet inom analgesi. Han har arbetat för Astra Zeneca i mer än 35 år och har varit delaktig i utvecklingen två olika smärtstillande produkter, hela vägen från klinisk utveckling till registrering och marknadsföring (Citodon® och Ardinex®) och senare ansvarig för olika beredningsformer och styrkor för Alvedon®. Han även arbetat med potentiella behandlingar av erytromelalgi.

”Det svar vi nu har fått från FDA visar hur stor potentialen är i molekylen XEN-D0501. Dessutom är jag verkligen glad över att Hans, som är en så stor kapacitet inom erytromelalgi specifikt och smärtlindring i allmänhet, har valt att gå med i vårt team och jag ser verkligen fram emot att utveckla en pipeline kring TRPV1 med honom”, kommenterar Dorte X. Gram.

För mer information:  
Dorte X. Gram, VD  
M: +46 (0)73 903 6969  
E: [dxg@pilapharma.com](mailto:dxg@pilapharma.com)

*Denna information är sådan information som PILA PHARMA AB är skyldig att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades för offentliggörande den 15 juli 2022 kl 16:00.*



*Bolagets aktie, med kortnamn PILA, är föremål för handel på Nasdaq First North Growth Market med Aqurat Fondkommission AB som Certified Adviser.*

*Kontakt: M: [info@aqurat.se](mailto:info@aqurat.se). T: 08-684 05 800*

### **Om Pila Pharma (PUBL)**

Pila Pharma är ett svenskt bioteknikföretag inom diabetessegmentet baserat i Malmö. Bolagets mål är att utveckla TRPV1-antagonister som nya behandlingar. Bolaget utvecklar för närvarande XEN-D0501 som ett nytt oralt antidiabetiskt läkemedel. Företaget äger både användarpatent för behandling av diabetes och fetma med TRPV1-antagonister, samt de immateriella rättigheterna för den kliniska utvecklingskandidaten XEN-D0501. Bolaget noterades på Nasdaq First North GM i Stockholm den 15 juli 2021 för att finansiera vidareutvecklingen av XEN-D0501.

### **Om XEN-D0501 och TRPV1-antagonister**

XEN-D0501 är en TRPV1-antagonist som är en selektiv och potent syntetisk liten molekyl, som inlicensierades 2016 och som tidigare utvecklats av Bayer Healthcare, Tyskland och Xention/Ario Pharma, Storbritannien. TRPV1-receptorn (även kallad "chili-receptorn") och TRPV1-antagonister som nedreglerar neurogen inflammation, har visat upp tillämpningar för smärta och inflammatoriska sjukdomar och spelar potentiellt en roll även vid diabetes. Före inlicensieringen hade XEN-D0501 visat sig ha en god säkerhetsprofil i andra patientgrupper (icke-diabetes). Pila Pharma har hittills genomfört två kliniska fas 2a-studier (PP-CT01 och PP-CT02), som båda visade att XEN-D0501 tolereras väl av typ 2-diabetespatienter. Vidare visade PP-CT02 att XEN-D0501 (administrerad som 4 mg två gånger dagligen i 28 dagar) – med statistisk signifikans jämfört med placebo – förstärker det endogena insulinsvaret på oralt glukos.

Företaget har nyligen slutfört tillverkningen av nytt API som behövs för genomförandet av 13-veckors prekliniska säkerhetsstudier, som behövs för att ytterligare utveckla XEN-D0501 till en klinisk 13-veckors fas 2b-studie på patienter med typ 2-diabetes. De prekliniska studierna har nyligen påbörjats och pågår. Överväganden för bästa kliniska utveckling av XEN-D0501 vid erytromelalgi utöver diabetes pågår.

### **Om diabetes**

Diabetes är en global pandemi. Cirka 537 miljoner människor lider av sjukdomen 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 följsjukdomar som hjärt-kärlsjukdomar, minska patientens livskvalitet, öka risken för dödsfall samt är mycket kostsam i sjukvårdssystemet. Trots att stora framsteg gjorts med behandling av diabetes återstår ett stort omättat behov av behandlingar som är effektiva, säkra och tillgängliga både fysiskt och i pris.

### **Om erytromelalgi**

Erytromelalgi är en sällsynt sjukdom där neurogen inflammation spelar roll för utvecklingen av symptom. Sjukdomen kan orsaka nästan konstant eller episodiskt erytem, smärta, (som sträcker sig från lätta stickningar till svår brännande känsla) och rodnad i extremiteter. Det drabbar oftast fötterna men kan också förekomma i händer, ansikte eller andra delar av kroppen med både nerver och blodkärl inkluderade. Symtom hanteras ofta genom att undvika smärtutlösare. Störningen kan vara extremt försvagande, med en betydande inverkan på livskvaliteten och med potential att påverka dödligheten hos unga och självmordsfrekvensen hos vuxna.