

## Toleranzias VD Charlotte Fribert svarar på några korta frågor

Den senaste tiden har Toleranzia AB kommit ut med flera nyheter. Bolaget har beviljats patent i USA för sin plattformsteknologi, identifierat ett nytt tolerogen samt skickat in en ansökan om sär läkemedelsstatus för densamma och ingått ett avtal med ett brittiskt företag inom nanomedicin. Nu fortskrider arbetet med bolagets läkemedelskandidat, samtidigt som ett utvärderingsarbete för det nya tolerogenet pågår. Toleranzias VD Charlotte Fribert besvarar nedan några korta frågor om vad status är i bolaget.

### Hur fortskrider utvecklingen av Toleranzias läkemedelskandidat?

För närvarande arbetar vi med en optimering av den storskaliga tillverkningsprocessen avseende vår befintliga läkemedelskandidat, TOL1. Detta innebär att vi tillsammans med Leads to Development undersöker dels vilka steg i tillverkningsprocessen som kan och bör förbättras för att uppnå en kostnadseffektiv produktion, dels vilken kontraktstillverkare som skulle vara den bästa partnern för uppgiften.

### Toleranzia har sedan tidigare patent i Europa, Australien, Kina och Japan. Vad betyder det nyligen beviljade USA-patentet för bolaget?

USA är en av de största marknaderna vad gäller läkemedel, varför det såklart är ett mycket viktigt besked för oss. Vi har nu patent på de mest betydelsefulla områdena. Utöver patenten har vi även sär läkemedelsstatus i Europa och USA vad gäller vår läkemedelskandidat, TOL1.

### Kan du beskriva ert senaste fynd?

Det nya tolerogenet, TOL2, som är helt kroppseget, utgörs av en del av det sjukdomsrelevanta acetylkolin-receptorproteinet, som är muskelns mottagare av nervimpulser och således en förutsättning för muskelsamman-dragning. Hos patienter med myastenia gravis sker immunattacker mot denna receptor. Det leder till en försämrad överföring av elektriska impulser mellan nerv och muskel och en efterföljande muskelsvaghet som kan bli mycket allvarlig för patienten. Tillsammans med en forskargrupp i Grekland har vi genomfört försök med TOL2 i en djurmodell av MG med spännande resultat som vi nu utforskar vidare. Den relativt okomplicerade utformningen och begränsade storleken hos TOL2 indikerar att tillverkning av tolerogenet skulle kunna ske med en relativt enkel process.

### Toleranzia har ansökt om sär läkemedelsstatus för det nya tolerogenet – vad det innebär det?

Eftersom Toleranzias huvudindikation, myastenia gravis, är en mindre indikation sett till antalet patienter, finns möjlighet att ansöka om så kallad sär läkemedelsstatus. Baserat på de framgångsrika resultaten med TOL2 har vi lämnat in en ansökan om sär läkemedelsstatus till Food and Drug Administration ("FDA") i USA. Beviljad sär läkemedelsstatus innebär att en eventuell framtida produkt ges marknadsexklusivitet i landet i sju år. Dessutom ger det rätt till betydande stöd från de regulatoriska myndigheter som granskar upplägg och resultat av kliniska studier och som tillser att dessa följer rådande lagar och etiska regler. Eftersom vi sedan tidigare har sär läkemedels-status i både Europa och USA vad gäller TOL1 har vi god kännedom om hur ansökningsprocessen går till. Vår bedömning är därför att vi kan få ett svar från myndigheten inom cirka 90 arbetsdagar.

### Vad har det nya tolerogenet för inverkan på utvecklingen av den befintliga läkemedelskandidaten?

Det nya tolerogenet har bidragit till en breddning av både vår kunskap och vår teknologi utan att nämnvärt påverka bolagets resurser, eftersom utvecklingsarbetet med TOL2 i huvudsak bedrivits av forskargruppen i Grekland. Vi ser det nya tolerogenet som ett tillskott som behöver utvärderas ytterligare för att avgöra om det finns potential för fortsatt utveckling. Arbetet med TOL1 har inte rubbats, utan löper parallellt med utvärderingen av TOL2.

### Ni har nyligen slutit ett avtal med Tecrea, ett brittiskt företag inom nanomedicin – kan du berätta mer?

Tecrea är ett väletablerat företag inom nanomedicin med stora läkemedelsföretag och universitet som samarbets-partners. Avtalet med Tecrea öppnar nya vägar för Toleranzia att ytterligare förbättra egenskaperna hos företagets tolerogener. Tecreas teknologi bygger på inbyggning av läkemedel i så kallade nanopartiklar, som kan skräddarsys med avseende på storlek, laddning och form för olika tillämpningar. För Toleranzias tolerogener kan detta nya sätt att formulera medföra egenskaper som ökad stabilitet och skydd mot nedbrytning, effektiv cell-targeting och

Mer från bolaget 2016-11-21

cellulärt upptag. Användande av tolerogen i nanopartikel-formulering kan dessutom resultera i att mängden protein som behövs för en effektiv behandling kan komma att minska avsevärt. En stor fördel med Tecreas teknologi, Nanocin™, är att de ämnen som används för att bygga nanopartikeln är välkända, produktionen är enkel och deras säkerhet hos människa är väldokumenterad för en rad tillämpningar.

### **Nyttjandeperioden för Toleranzias teckningsoptioner av serie TO 1 pågår för närvarande – hur går tankarna kring optionerna?**

De teckningsoptioner av serie TO 1 som emitterades i listningsemissionen kan maximalt tillföra Toleranzia cirka 20,1 MSEK. Med anledning av det läge vi befinner oss i just nu har vi den senaste tiden fått en del frågor kring om vi inte skulle flytta fram nyttjandeperioden för teckningsoptionerna för att den skulle hamna "in the money" och tillföra det kapital vi planerat för. Att flytta på tiden för nyttjandeperioden var inte ett alternativ enligt god sed på värdepappersmarknaden, eftersom ändringar i villkoren för optionerna är ett avsteg från den allmänt accepterade ordningen att handel ska kunna ske på förutsägbara villkor. Vi låter således tiden för optionen vara enligt ursprunglig plan. Som vi tidigare nämnt har vi kapital att finansiera utvecklingen fram till och med sommaren 2017.

Vår förhoppning är att vårt målmedvetna och fokuserade arbete, som följer en väl genomarbetad plan och som innefattar såväl TOL1 som TOL2 och bygger värde längs flera spår, skall ha kommunicerats så att presumtiva konverterare kan göra en relevant bedömning av bolagets förutsättningar och potential. Det innefattar förstås även de risker som alltid är förknippade forskning och utveckling av läkemedel.

### **Du som VD är ute och presenterar Toleranzia på diverse informationsträffar runt om i landet. Var kan den som inte kan närvara på dessa ha chansen att hitta mer information?**

Precis, vi ser det som en viktig uppgift att vara ute och informera om vår verksamhet och om vad som händer i Toleranzia. Dessutom är det väldigt roligt att träffa aktieägare och intressenter för att diskutera. Många presentationer livesänds så att de kan ses via webben i realtid. För den som inte har möjlighet att närvara fysiskt eller via livesändning på webben, samlar vi på vår hemsida filmade presentationer, artiklar, podcasts och dylikt där Toleranzia intervjuas eller omskrivs. Detta material hittas här: <http://www.toleranzia.se/nyheter/media/>.

### **Vad händer för Toleranzia härnäst?**

Som nämnts tidigare har vi för närvarande ett pågående arbete tillsammans med Leads to Development, vad gäller förbättring av tillverkningsprocessen för TOL1. Därutöver utvärderar vi TOL2, ett arbete som bland annat innefattar formulering med Nanocin™. Vi avser att påbörja toxikologiska studier under hösten 2017 och att därefter gå in i kliniska studier 2018.

### **För ytterligare information, vänligen kontakta**

Charlotte Fribert – VD

Telefon: +46 763 19 98 98

E-post: [charlotte.fribert@toleranzia.com](mailto:charlotte.fribert@toleranzia.com)

### **Om Toleranzia AB**

*Toleranzia AB (556877-2866) förfogar över en plattformsteknologi för behandling av autoimmuna sjukdomar. Bolagets huvudprojekt riktar sig mot en autoimmun nerv-muskelsjukdom, myastenia gravis, med stort behov av en effektiv medicinsk behandling och en omfattande marknadspotential, för vilken bolaget erhållit Orphan Drug Designation i USA och EU. Plattformsteknologin möjliggör utveckling av terapier som riktar sig mot sjukdomsorsaken – inte bara mot symptomen, vilket i dagsläget är gängse behandlingsmetod. Utöver myastenia gravis, har plattformsteknologin utvärderats mot ytterligare tre indikationer – reumatoid artrit, multipel skleros och diabetes typ 1, där positiva behandlingseffekter har uppnåtts i sjukdomsrelevanta djurmodeller. Toleranzia är grundat av forskare vid Göteborgs universitet. Bolaget är verksamt vid Biotech Center i Göteborg. Läs mer på: [www.toleranzia.se](http://www.toleranzia.se).*