



ABLYNX ZET DOCHTERMAATSCHAPPIJ OP IN DE VS EN BENOEMT EEN GENERAL MANAGER

GENT, België, 16 oktober 2017 – Ablynx [Euronext Brussels: ABLX; OTC: ABYLY] berichtte vandaag de oprichting van Ablynx, Inc., haar dochteronderneming in de VS, en de benoeming van Mr Daniel Schneider tot General Manager om de commercialisering van caplacizumab in Noord-Amerika te leiden. Mr Daniel (Dan) Schneider zal werken vanuit een kantoor in de VS, gelegen aan de oostkust. Caplacizumab is de Vennootschap's eigen anti-vonWillebrand factor (vWF) Nanobody® dat ontwikkeld wordt voor de behandeling van verworven trombotische trombocytopenische purpura (aTTP).

Dan Schneider heeft 25 jaar ervaring in het opzetten en leiden van de commerciële activiteiten van een aantal bedrijven in de life sciences industrie en was zeer nauw betrokken bij de succesvolle lancering van verscheidene farmaceutische producten, waaronder geneesmiddelen voor weesindicaties. Tot voor kort was Dan de General Manager van de Specialty Pharmaceuticals Business Unit bij BTG International Inc. Voorheen bekleedde hij senior commerciële functies in een aantal life sciences bedrijven waar hij de commerciële strategie ontwikkelde en de verkoopactiviteiten leidde doorheen alle sectoren van de business. Dan behaalde een BSBA aan de Saint Louis University en een MBA aan de Washington University in St. Louis.

Dr Edwin Moses, Gedelegeerd Bestuurder bij Ablynx, verklaarde: “De oprichting van Ablynx, Inc. is een belangrijke mijlpaal voor het bedrijf en bevestigt onze ambities om een volledig geïntegreerd internationaal biofarmaceutisch bedrijf te worden. We zijn erg blij dat Dan ons vervoegt. Hij brengt jarenlange ervaring mee in het opzetten van commerciële organisaties en leidde verschillende succesvolle productlanceringen in de VS. We kijken ernaar uit om samen te werken aan de verdere ontwikkeling van onze commerciële infrastructuur ter voorbereiding van de mogelijke lancering van caplacizumab.”

In een reactie op zijn benoeming, voegde Mr Schneider eraan toe: “Ik ben verheugd om Ablynx te vervoegen op dit zeer belangrijk moment waarop de Vennootschap zich voorbereidt op de mogelijke lancering van zijn eerste product. Ik kijk ernaar uit om de commerciële activiteiten in Noord-Amerika op te bouwen, te leiden en bij te dragen aan de groei van het bedrijf.”

Over caplacizumab

Caplacizumab is een bivalent anti-vWF Nanobody dat in 2009 de Status van Weesgeneesmiddel voor aTTP verkreeg in Europa en de Verenigde Staten. Caplacizumab blokkeert de interactie tussen ultra-grote vWF (UL-vWF) multimeren met de bloedplaatjes en heeft daardoor een onmiddellijk effect op de aggregatie van de bloedplaatjes en de resulterende vorming en accumulatie van kleine bloedklonters die ernstig bloedplaatjesteekort en orgaan- en weefselschade veroorzaken in aTTP. Dit onmiddellijk effect van caplacizumab heeft het potentieel om de patiënt te beschermen tegen de verschillende manifestaties van de ziekte, terwijl het onderliggende ziekteproces hersteld wordt.

De werkzaamheid en veiligheid van caplacizumab bovenop de standaardbehandeling werden geëvalueerd in de Fase II TITAN studie (N=75)¹ en de Fase III HERCULES studie (N=145)² in patiënten met aTTP. In beide studies werd caplacizumab goed verdragen en werd het primair eindpunt bereikt resulterend in een statistisch significante vermindering in tijd tot respons van het aantal bloedplaatjes ($p < 0,01$), een

¹ Persbericht [juni 2014](#); [Manuscript](#) in NEJM, feb 2014; [Manuscript](#) in JTH, apr 2017

² Persbericht [oktober 2017](#)

preventiemaatstaf om verdere microvasculaire trombose te voorkomen. De Fase III HERCULES studie toonde verder aan dat behandeling met caplacizumab resulteerde in een vermindering van 74% in het percentage patiënten met aTTP-gerelateerde sterfte, terugval van aTTP, of minstens één ernstig trombo-embolisch voorval tijdens de behandeling met het onderzoeksgeneesmiddel ($p < 0,0001$). Bovendien was het percentage van patiënten met een terugval van aTTP in de gehele studieperiode (inclusief de opvolging van 28 dagen na het beëindigen van de behandeling met het onderzoeksgeneesmiddel) 67% lager in de caplacizumab groep dan in de placebo groep ($p < 0,001$), waarbij de duurzaamheid van het behandelingseffect werd aangetoond. Er waren geen met caplacizumab behandelde patiënten waarbij de behandeling niet aansloeg, waar dit wel het geval was voor drie met placebo behandelde patiënten ($p = 0,057$). Er was ook een trend tot een snellere normalisatie van de orgaanschade merkers (lactaatdehydrogenase, cardiale troponine I en serumcreatinine) in patiënten die met caplacizumab werden behandeld. Het veiligheidsprofiel van caplacizumab was consistent met het werkingsmechanisme. Er waren drie doden in de placebo groep en geen in de caplacizumab groep tijdens de behandelingsperiode met het studiegeneesmiddel. Eén patiënt in de caplacizumab groep stierf in de vervolgperiode na het voltooien van de behandeling met het studiegeneesmiddel, en dit werd door de onderzoeker beoordeeld niet gerelateerd te zijn aan het studiegeneesmiddel.

In februari 2017 werd, gebaseerd op de Fase II TITAN studie resultaten, een aanvraag tot vergunning voor het in de handel brengen (*Marketing Authorisation Application* - MAA) ingediend bij het Europees Geneesmiddelenagentschap (*European Medicines Agency* - EMA) voor goedkeuring van caplacizumab ter behandeling van aTTP³. In juli 2017 heeft Ablynx Fast Track status ontvangen van de Food and Drug Administration (FDA) voor caplacizumab voor de behandeling van aTTP⁴. Resultaten van de Fase III HERCULES studie zullen naar verwachting de MAA verder ondersteunen, alsook de in 2018 geplande vergunningsaanvraag voor biologische middelen (*Biologics License Application* – BLA) in de Verenigde Staten. Bij goedkeuring door de regelgevende instanties, zal caplacizumab het eerste geneesmiddel zijn specifiek aangewezen voor de behandeling van aTTP.

Over aTTP

aTTP is een zeldzame, acute, levensbedreigende bloedstollingsziekte. De ziekte wordt veroorzaakt door verminderde activiteit van het ADAMTS13 enzyme waardoor de UL-vWF multimeren niet meer worden gesplitst (vWF is een belangrijk eiwit betrokken in het bloedstollingsproces). Deze ULvWF multimeren binden spontaan met bloedplaatjes, wat resulteert in ernstige trombocytopenie (zeer laag aantal bloedplaatjes) en vorming van bloedklonters in de kleine bloedvaten doorheen het lichaam⁵, hetgeen leidt tot ischemie en wijdverspreide orgaanschade⁶.

Niettegenstaande de huidige standaardbehandeling van dagelijkse plasmaferese en immuunsuppressie, zijn aTTP episodes nog steeds geassocieerd met een sterftcijfer tot 20%, waarbij de meeste overlijdens binnen de 30 dagen na diagnose plaatsvinden⁷. Daarnaast lopen de patiënten een risico op acute thrombo-embolische complicaties (bijv. beroerte, hartinfarct) en op een terugval van de ziekte. Bij sommige patiënten slaat de behandeling niet aan, wat de kans op overleven van een acute episode van aTTP aanzienlijk verkleint. Op lange termijn hebben de patiënten een verhoogd risico op hoge bloeddruk, ernstige depressie en vroegtijdige dood⁸.

³ Persbericht [februari 2017](#)

⁴ Persbericht [juli 2017](#)

⁵ Veyradier, NEJM 2016: “von Willebrand Factor – A new target for TTP treatment?”

⁶ Scully *et al.*, Br J Hem 2012; Sarode *et al.*, J Clin Apher 2014; Chaturvedi *et al.*, Am J Hem 2013

⁷ Benhamou, Y. *et al.*, Haematologica 2012

⁸ Deford *et al.*, Blood 2013

Over Ablynx

[Ablynx](#) is een biofarmaceutische onderneming actief in de ontwikkeling van [Nanobodies®](#), gepatenteerde therapeutische eiwitten gebaseerd op enkele-keten antilichaamfragmenten die de voordelen combineren van medicijnen gebaseerd op conventionele antilichamen en kleine chemische moleculen. Ablynx is toegewijd om nieuwe medicijnen te ontwikkelen die een duidelijk verschil kunnen maken voor de samenleving. De Vennootschap heeft vandaag meer dan [45 programma's](#) in eigen ontwikkeling en met partners in diverse therapeutische indicaties zoals inflammatie, hematologie, immuno-oncologie, oncologie en ademhalingsziekten. Ablynx heeft overeenkomsten met verscheidene farmaceutische bedrijven waaronder AbbVie; Boehringer Ingelheim; Eddingpharm; Merck & Co., Inc., Kenilworth, New Jersey, VS; Merck KGaA; Novartis; Novo Nordisk; Sanofi en Taisho Pharmaceutical. De onderneming is gevestigd in Gent, België. Meer informatie is te vinden op www.ablynx.com.

Voor bijkomende informatie, gelieve contact op te nemen met:

Ablynx

Dr Edwin Moses
Gedelegeerd Bestuurder

t: +32 (0)9 262 00 07

m: +32 (0)473 39 50 68

e: edwin.moses@ablynx.com

Lies Vanneste

Director IR

t: +32 (0)9 262 01 37

m: +32 (0)498 05 35 79

e: lies.vanneste@ablynx.com

 [@AblynxABLX](#)

Ablynx' relaties voor media:

Consilium Strategic Communications

Mary-Jane Elliott, Philippa Gardner, Sukaina Virji

t: +44 (0)20 3709 5700

e: ablynx@consilium-comms.com

Disclaimer

Bepaalde verklaringen, overtuigingen en meningen uitgedrukt in dit document zijn toekomstgericht en weerspiegelen de huidige verwachtingen en projecties van de Vennootschap of, naargelang het geval, de bestuurders van de Vennootschap, over toekomstige gebeurtenissen. Uit hun aard houden toekomstgerichte verklaringen een aantal risico's, onzekerheden en vooronderstellingen in die ertoe zouden kunnen leiden dat de werkelijke resultaten of gebeurtenissen wezenlijk verschillen van deze uitgedrukt of gesuggereerd door de toekomstgerichte verklaringen. Deze risico's, onzekerheden en vooronderstellingen zouden een nadelige invloed kunnen hebben op de uitkomst en de financiële gevolgen van de plannen en gebeurtenissen die hierin worden beschreven. Heel wat factoren, met inbegrip van, maar niet beperkt tot, wijzigingen in de vraag, de concurrentie en de technologie, kunnen tot gevolg hebben dat werkelijke gebeurtenissen, prestaties of resultaten wezenlijk verschillen van enige geanticipeerde ontwikkeling. Toekomstgerichte verklaringen opgenomen in dit document aangaande tendensen of activiteiten uit het verleden mogen niet worden beschouwd als een verklaring dat dergelijke tendensen of activiteiten zich zullen voortzetten in de toekomst. Bijgevolg verklaart de Vennootschap uitdrukkelijk geen enkele verplichting of verbintenis op zich te nemen om enige update of herziening van enige toekomstgerichte verklaring opgenomen in dit document openbaar te maken ten gevolge van enige wijziging in de verwachtingen of enige wijziging in gebeurtenissen, voorwaarden, vooronderstellingen of omstandigheden waarop de toekomstgerichte verklaringen zijn gebaseerd. Noch de Vennootschap, noch haar raadgevers of vertegenwoordigers, noch enige moeder- of dochteronderneming of enige bedrijfsleider of werknemer daarvan, waarborgen dat de vooronderstellingen die aan de basis liggen van dergelijke toekomstgerichte verklaringen geen vergissingen bevatten, en geen van hen aanvaardt enige verantwoordelijkheid voor de toekomstige juistheid van de toekomstgerichte verklaringen opgenomen in dit document, of voor het zich daadwerkelijk voordoen van de voorspelde ontwikkelingen. U dient geen ongepast vertrouwen te stellen in toekomstgerichte verklaringen, die enkel gelden op datum van dit document.