

PRESSMEDDELANDE

19 februari 2019

Uppdatering av Tesomet Fas 2a studie för Prader-Willis syndrom

- Tesomet 0,5 mg / dag gav minskningar i vikt och hyperfagi hos vuxna PWS-patienter
- Tesomet 0,125 mg / dag tolererades väl hos tonåriga PWS-patienter men uppnådde inte de plasmakoncentrationer som är kända att ha visat effekt i tidigare fas 2 och fas 3-studier
- Löpande doseskalering öppen förlängningsstudie hos tonåriga PWS-patienter fortsätter med en högre dos av 0,25 mg / dag
- Tesofensine (den aktiva ingrediensen i Tesomet) visades nyligen vara effektiv i en registreringsgrundande fas 3-studie hos vuxna överviktiga patienter

Saniona (OMX: SANION), ett bioteknikföretag med inriktning mot CNS och ätstörningar, lämnade idag en uppdatering av den pågående doseskalering fas 2a-studien av Tesomet hos ungdomar med Prader-Willis syndrom (PWS). Behandlingen tolererades väl i denna yngre patientgrupp, och åtta av de nio patienterna har nu genomgått 7 veckor av den öppna fortsättningsstudien med dosen 0,125 mg / dag. Saniona har fått godkännande för att dosen ska ökas till 0,25 mg i Tjeckien och ett godkännande i Ungern väntar.

"Vi vet från den första delen av denna fas 2a-studie att Tesomet är effektivt hos vuxna patienter i en dos om 0,5 mg per dag. Denna dos resulterar i plasmanivåer som är flera gånger högre hos PWS-patienter än i våra tidigare studier med normalt överviktiga personer, eftersom Tesomets halveringstid är mycket längre hos PWS-patienter", säger Jørgen Drejer, vd för Saniona.

"Vi fortsätter nu att försöka fastställa den optimala doseringsregimen hos ungdomar. På grund av deras ålder började deras behandling med en försiktigt låg dos på 0,125 mg per dag - fyra gånger lägre än den testade dosen hos vuxna. Detta har resulterat för låga Tesomet-plasmakoncentrationer för att korrelera med effekt och nu kommer dosen att dubblas till 0,25 mg / dag i den öppna förlängningsstudien.

Baserat på den starka effekten både på hyperfagi (hungerkänsla) och vikt som visades i den första delen av studien hos vuxna PWS-patienter, och på den framgångsrika fas 3-studien av tesofensine (den aktiva substansen i Tesomet) hos vuxna överviktiga personer är vi övertygade om att en högre dos av Tesomet har potential att behandla hyperfagi och signifikant minska vikten i denna allvarligt underbehandlade grupp", fortsätter han.

Denna fas 2a-studie är en explorativ randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad fas 2a-studie. Det primära målet för studien är att undersöka förändringen i kroppsvikt över 12 veckors behandling med Tesomet jämfört med placebo. Sekundära mål omfattar ätbeteende och hungerkänsla (hyperfagi), kroppssammansättning, lipider och andra metaboliska parametrar. Studien är uppdelad i två delar.

Den första delen, som omfattade nio vuxna PWS-patienter, avslutades framgångsrikt år 2018. Resultaten visade att Tesomet 0,5 mg / dag kan ge kliniskt meningsfull viktminskning och en signifikant minskning av hyperfagi hos vuxna patienter. Studieresultaten indikerade också att den optimala dosen i PWS kan vara 2-4 gånger lägre än i andra indikationer såsom hypotalamisk fetma, eftersom Tesomets halveringstid är mycket längre hos PWS-patienter.



Därför omfattade den andra delen av studien nio tonåriga PWS-patienter som fick Tesomet 0,125 mg / dag, vilket är fyra gånger lägre än den dos som gavs till vuxna PWS-patienter under studiens första del.

Halveringstiden för tesofensine hos den tonåriga patientgruppen befanns vara mycket lång, vilket också setts hos den vuxna patientgruppen. Detta innebär att de genomsnittliga plasmakoncentrationerna av tesofensine långsamt byggdes upp under tre månaders behandlingsperiod och i slutet var de endast hälften (~ 5 ng / ml) av det som anses vara en terapeutiskt relevant plasmanivå (~ 10 ng / ml) baserat på tidigare studier hos överviktiga patienter. Minskningar i uppskattad hyperfagi och en ökning av kroppsvikt observerades i båda behandlingsgrupperna. Skillnaden var inte statistiskt signifikant mellan de två grupperna. Behandlingen tolererades väl och åtta av de nio ungdomarna har nu genomgått 7 veckor av en tre månaders öppen förlängningsstudie.

Saniona har ansökt om godkännande för att fortsätta studien med en högre dos om 0,25 mg i ytterligare tre månaders öppen förlängning av studien. Målet är att uppnå en liknande plasmanivå av tesofensine hos PWS-patienter som erhöles i tidigare fas 2 och fas 3-studier hos överviktiga patienter där tesofensine har visat sig tolereras väl och vara mycket effektivt för att kontrollera aptit och minska vikt. Ansökan har godkänts i Tjeckien och väntar på godkännande i Ungern. De första patienterna väntas byta till dosen 0,25 mg i mars.

För mer information, vänligen kontakta

Thomas Feldthus, vVD och CFO, Saniona, mobil: +45 2210 9957, e-post: tf@saniona.com

Informationen är sådan som Saniona AB (publ) är skyldigt att offentliggöra i enlighet med EU:s förordning om marknadsmissbruk. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 19 februari 2019 kl. 08.00 CET.

Om Saniona

Saniona är ett forsknings- och utvecklingsbolag fokuserat på läkemedel för sjukdomar i centrala nervsystemet och ätstörningar. Bolaget har fyra program i klinisk utveckling. Saniona har för avsikt att utveckla och kommersialisera behandlingar av sällsynta indikationer såsom Prader-Willis syndrom och hypotalamisk fetma på egen hand. Forskningen är inriktad på jonkanaler och bolaget har en bred portfölj av projekt i tidig fas. Saniona har samarbeten med Boehringer Ingelheim GmbH, Productos Medix, S.A de S.V och Cadent Therapeutics. Saniona har sin bas i Köpenhamn, och bolagets aktier är noterade på Nasdaq Stockholm Small Cap (OMX: SANION). Läs mer på: www.saniona.com.

Om Prader-Willis Syndrom (PWS)

Prader-Willis Syndrom (PWS) är erkänd som den vanligaste genetiska orsaken till livshotande övervikt. Sjukdomen orsakas av en radering eller förlust av funktioner av ett kluster av gener på kromosom 15, vilket leder till dysfunktionell signalering i hjärnans aptit/mättnadscentrum (hypotalamus). Patienterna lider av en konstant, extrem, glupande och omättlig aptit oavsett hur mycket patienterna än äter. Som ett resultat, lider många av de som drabbas av PWS av sjuklig fetma och ökad dödlighet. Hetsätning och fixering vid mat brukar börja före 6 års ålder. Lusten att äta är fysiologisk, överväldigande och svår att kontrollera. Vårdgivare måste strikt begränsa patienternas tillgång till mat, vanligtvis genom att installera lås på kylskåp och på alla garderober och skåp där mat förvaras. För närvarande finns det inget botemedel för denna sjukdom. Patienter med PWS har en förkortad livslängd. Vanliga orsaker till dödlighet i PWS inkluderar respiratoriska sjukdomar, hjärtsjukdomar, infektioner, kvävning, bristning i magsäcken och lungemboli. Men om fetma undviks och komplikationerna hanteras väl, är livslängden för personer med PWS normal eller i närheten av normal livslängd



och de flesta individer kan leva ett hälsosamt liv¹. PWS förekommer i cirka en på 15 000 födslar². Män och kvinnor drabbas lika. Syndromet är uppkallat efter Andrea Prader, Heinrich Willi, och Alexis Labhart som i detalj beskrev det 1956. De gemensamma kännetecknen som anges i den första rapporten är bland annat små händer och fötter, onormal tillväxt och kroppssammansättning (liten kroppsbyggnad, mycket låg muskelmassa och tidigt debuterande barnfetma), hypotoni (svaga muskler) vid födseln, omättlig hunger, extrem fetma och utvecklingsstörning.

¹ Butler MG, Lee PDK, Whitman, BY. Management of Prader-Willi Syndrome. 3rd ed. New York, NY: Springer Verlag Inc.; 2006. 0387253971

² <https://www.fpwr.org/about-prader-willi-syndrome/> Foundation for Prader-Willi Research, oktober 2016