



## PRESSMEDDELANDE

8 januari 2018

### Saniona rapporterar topplinjerresultat från Tesomet Fas 2a interimstudien i Prader-Willis syndrom

Saniona, ett ledande bioteknikföretag inom jonkanaler, meddelar idag topplinjerresultat från sin undersökande fas 2a kliniska studie för Tesomet i patienter med Prader-Willis syndrom. Det lilla antalet patienter i studien (n = 9) och misslyckandet med en placebo och fyra behandlade patienter att slutföra studien omöjliggör betydelsefull statistisk utvärdering. Vi observerade dock en kliniskt betydelsefull viktninskning samt en anmärkningsvärd minskning av hyperfagi (överdriven hunger) under tremånadersstudien. Övriga visade sig plasmakoncentrationerna av tesofensine vara två till fyra gånger högre i denna studie jämfört med tidigare studier i patienter med övervikt och diabetes med samma dos av tesofensine. Detta kan förklara den höga frekvensen avhopp i studien och några av de observerade biverkningarna.

"De positiva och övertygande effektdata från denna fas 2a-studie är mycket uppmuntrande, eftersom den indikerar att Tesomet kan ge en kliniskt betydelsefull minskning av vikt och hyperfagi hos patienter med Prader-Willis syndrom. Biverkningar och antalet avhopp från studien var dock oroande. Nu visar det sig att plasmanivåerna av tesofensine var dramatiskt och oväntat förhöjda i denna patientgrupp, vilket kan förklara den höga förekomsten av biverkningar i behandlingsgruppen. Framåtriktat avser vi att noggrant analysera data och diskutera dessa med ledande experter inom området för att utvärdera potentiella uppföljningsstudier med en lägre dos Tesomet för denna komplexa patientgrupp, säger Jørgen Drejer, VD för Saniona.

Den förberedande dubbelblinda, randomiserade fas 2a-studien hade totalt nio vuxna patienter inskrivna med Prader-Willis syndrom, varav sex patienter fick Tesomet och tre patienter fick placebo. Totalt fyra patienter avslutade försöket (två på behandling och två på placebo). Totalt sju patienter avslutade åtta veckor av studien (fem på behandling och två på placebo). Sammantaget måste resultaten tolkas med försiktighet.

Baserat på data kan följande observationer göras:

- Den kliniska prövningen uppnådde ett positivt resultat på den primära ändpunkten med en kliniskt betydelsefull viktninskning för patienter som behandlades med Tesomet jämfört med placebo. Efter 8 veckor var den genomsnittliga förändringen i kroppsvikt 5 % (n = 5) för patienter som fick Tesomet jämfört med 0,46% (n = 2) för patienter som fick placebo. Efter 13 veckor var förändringen i kroppsvikt 6,76% (n = 2) för patienter som fick Tesomet jämfört med 0,75% (n = 2) för patienter som fick placebo. Den genomsnittliga viktninskningen var 4,78 kg (n = 5) efter 8 veckor och 7,95 kg (n = 2) efter 13 veckor för patienter som fick Tesomet. Det var stor variation i viktninskning mellan patienter.
- Det genomsnittliga midjemåttet reducerades med 7,2 cm (n = 5) efter 8 veckor och 10 cm (n = 2) efter 13 veckor för patienter behandlade med Tesomet och med 4 cm (n = 2) och 6,5 cm (n = 2) för de två tidpunkterna i placebogruppen.
- Det observerades en anmärkningsvärd minskning av matbegär bland patienter som behandlades med Tesomet. Det totala värdet som uppmättes genom det validerade frågeformuläret för kliniska prövningar på hyperfagi föll från 10,00 (n = 6) vid utgångsläget till 1,00 (n = 5) efter 8 veckor och till 0,00 (n = 2) efter 13 veckor där ett poäng på 0 är motsvarande inga tecken på hyperfagi, mätt med frågeformuläret för



hyperfagi. Efter en veckas behandling sjönk totalvärdet från 10 vid utgångsläget till 5,67 (n = 6) vilket motsvarar en minskning med 43 %. Det observerade hyperfagi-värdet i placebogruppen varierade över tid på grund av det låga antalet patienter. Efter 13 veckor var det totala värdet 9,50 (n = 2) jämfört med en baslinje av 11,67 (n = 3).

- Plasmakoncentrationen av tesofensine bland patienter som behandlades med Tesomet var i genomsnitt två till fyra gånger högre än förväntat jämfört med plasmakoncentrationen i andra patientgrupper från tidigare kliniska prövningar som fick samma dos. Den observerade plasmakoncentrationen kan delvis förklaras av en lägre ämnesomsättning och utfasning av tesofensine hos Prader-Willis-patienter samt deras höga kroppsfettprocent.
- Kardiovaskulära parametrar såsom hjärtfrekvens och blodtryck varierade inte målbart jämfört med placebo trots hög koncentration av tesofensine hos patienter som fick Tesomet.
- Det fanns inga rapporter om allvarliga biverkningar i försöket. Det fanns dock rapporter om biverkningar hos alla patienter som deltog i försöket, vilket är typiskt i kliniska prövningar i denna patientgrupp. Av de rapporterade biverkningarna var 67 % av placebogruppen och 83 % av behandlingsgruppen kvalificerade som möjliga eller antagligen behandlingsrelaterade. I behandlingsgruppen inkluderade biverkningarna en förvärring av redan uppträdande beteendeproblem och CNS-störningar, som reverserades efter avslutad studie eller i två av fallen då patienter erbjöds en tillfällig minskning av dosen under studien.

Jørgen Drejer sammanfattar: "Vi är nöjda med den observerade minskningen av vikt och matbegär i denna mycket lilla och korta undersökande studie för en svår patientgrupp. Genom att minska dosen tror vi att det kan vara möjligt att minska plasmakoncentrationen till en nivå där tesofensine tolereras bättre i denna mycket känsliga patientgrupp och att behandlingen samtidigt förblir effektiv, vilket demonstrerats i andra patientgrupper. Resultaten av den här undersökande fas 2a-studien stödjer vidare studier av Tesomet i Prader-Willis syndrom och vi kommer att diskutera med ledande experter på området hur vi kan gå vidare med denna möjlighet. Parallellt kommer Tesomet-studier på andra indikationer att fortsätta som planerat.

#### **För mer information, vänligen kontakta:**

Thomas Feldthus, vVD och CFO, Saniona, Mobil: +45 2210 9957, E-mail: [tf@saniona.com](mailto:tf@saniona.com)

Denna information är sådan information som Saniona AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 8 januari 2018 kl. 08:00 CET.

#### **Om Saniona**

*Saniona är ett forsknings- och utvecklingsbolag fokuserat på läkemedel för sjukdomar i centrala nervsystemet, autoimmuna sjukdomar, metabola sjukdomar och smärtlindring. Bolaget har en omfattande portfölj av potentiella läkemedelskandidater i preklinisk eller klinisk Fas. Forskningen är inriktad på jonkanaler som utgör en unik proteinklass som möjliggör och kontrollerar passage av laddade joner i cellernas membran. Bolaget samarbetar med Boehringer Ingelheim GmbH, Proximagen Ltd., Productos Medix, S.A de S.V och Cadent Therapeutics. Saniona har sitt kontor i Köpenhamn där bolaget har en forskningssite av hög internationell klass. Saniona är noterat på Nasdaq Stockholm Small Cap och har cirka 5 300 aktieägare. Aktien handlas under tickern SANION. Läs mer på [www.saniona.com](http://www.saniona.com)*