

PRESSMEDDELANDE

26 juli 2021

Saniona får sär läkemedelsklassning av FDA för Tesomet mot hypotalamisk fetma

Tesomet är det första och enda prövningsläkemedlet för behandling av hypotalamisk fetma som erhållit sär läkemedelsklassning

Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, meddelar idag att det amerikanska läkemedelsverket FDA har beviljat sär läkemedelsklassning av Tesomet för behandling av hypotalamisk fetma (HO). Tesomet är det första och enda prövningsläkemedlet för behandling av HO som erhållit sär läkemedelsklassning. Saniona förbereder starten av två Fas 2b-studier med Tesomet under andra halvåret i år, en på HO och den andra på Prader Willis syndrom där sär läkemedelsstatus redan erhållits.

”Det finns i nuläget inga FDA-godkända läkemedel för hypotalamisk fetma. Trots den förödande viktuppgång och hunger som den sällsynta sjukdomen kan orsaka har relativt lite läkemedelsutveckling specifikt inom HO-området. Saniona är stolta över att bryta ny mark för människor som lever med HO och vi är mycket glada över att få FDA:s första sär läkemedelsklassning någonsin inom HO. Vi ser fram emot att inleda vår Fas 2b-studie med Tesomet på HO under andra halvåret i år”, säger Rudolf Baumgartner, M.D., Chief Medical Officer och Head of Clinical Development på Saniona.

Amy Wood, VD för stiftelsen Raymond A. Wood Foundation och mor till ett barn som lever med hypotalamisk fetma, kommenterar: ”Erkännandet av den första sär läkemedelsklassningen inom hypotalamisk fetma är en mycket viktig milstolpe för alla som berörs av HO. HO utgör en enorm börda för vårdgivare och familjer. Sjukdomen orsakar kraftig viktuppgång och konstant hunger, oavsett hur mycket patienten äter, vilket tvingar oss att låsa in mat och undvika sociala sammanhang där mat serveras. Vi känner en oerhörd tacksamhet till både FDA och Saniona för att de inser hur allvarlig den här sjukdomen är och vi hoppas att sär läkemedelsklassningen är första steget mot att få tillgång till en innovativ behandling.”

Klassningen som sär läkemedel är en särskild status som FDA kan tilldela läkemedel och biologiska produkter som är avsedda för behandlingen av sällsynta sjukdomar med färre än 200 000 drabbade i USA. Det uppskattas att mellan 10 000 och 25 000 människor lever med HO i USA och mellan 16 000 och 40 000 i Europa. Sär läkemedelsklassningen ger Saniona rätt till vissa utvecklingsförmåner, däribland skattelättnader, avskaffande av vissa licensansökningsavgifter till FDA och sju års ensamrätt på marknaden i USA efter godkännandet.

Saniona har tidigare utvärderat Tesomet i en 24 veckor lång dubbelblind, randomiserad, placebokontrollerad första Fas 2-studie på HO. Vuxna som gavs Tesomet påvisade statistiskt signifikant nedgång i kroppsvikt och förbättringar av midjeomfång och glykemisk kontroll. Förbättringarna bibehölls under en 24 veckor lång öppen förlängning av studien. Tesomet visade sig i allmänhet tolereras väl och de flesta biverkningar var milda. Till de vanligaste biverkningarna hörde sömnrubbnings, muntorrhet, ledsmärta, huvudvärk och yrsel. Inga skillnader av klinisk betydelse avseende hjärtfrekvens eller blodtryck kunde noteras mellan de patienter som fick Tesomet och de som fick placebo.

Som förberedelse för starten av Fas 2b-studien med Tesomet på HO under andra halvåret 2021 har Saniona valt ut ett kontraktsforskningsföretag (CRO) som kommer att bistå i genomförandet. Just nu pågår urvalet av deltagande kliniker i

USA och runtom i världen. Saniona har också beslutat sig för en kontraktstillverkare av Tesomet för de kliniska Fas 2b- och Fas 3-studierna. Saniona har dessutom inlett ett flertal partnerskap med intresseorganisationer för HO för att försäkra sig om att vårdgivarnas och patienternas perspektiv kommer med i den kliniska försöksprocessen och för att ge kunskap om kliniska studier.

Saniona utvärderar också Tesomet för behandling av Prader-Willis syndrom (PWS) och avser att inleda en Fas 2b-studie inom denna indikation under andra halvan av året. FDA beviljade [särsläkemedelsklassning av Tesomet för behandling av PWS](#) i mars 2021.

För ytterligare information, vänligen kontakta

Trista Morrison, Chief Communications Officer, Saniona. Kontor: + 1 (781) 810-9227. E-post: trista.morrison@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 26 juli 2021 kl. 08:00 CEST.

Om Saniona

Saniona är ett biofarmaceutiskt företag som fokuserar på att upptäcka, utveckla och leverera innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar världen över. För bolagets huvudkandidat, Tesomet, genomförs kliniska studier i mellanfas avseende de sällsynta sjukdomarna hypotalamisk fetma och Prader-Willis syndrom, allvarliga sällsynta sjukdomar som kännetecknas av okontrollerbar hunger och svårhanterlig viktuppgång. Sanionas robusta plattform för läkemedelsupptäckt har genererat ett bibliotek av mer än 20 000 proprietära jonkanalsmodulatorer - en i huvudsak outnyttjad läkemedelsklass som är vetenskapligt validerad. Läkemedelskandidaten SAN711 med möjliga tillämpningar inom behandlingen av sällsynta neuropatiska sjukdomar genomgår klinisk prövning i Fas 1, och SAN 903, mot sällsynta inflammatoriska och fibrotiska sjukdomar, avanceras i preklinisk utveckling. Under ledning av ett erfaret vetenskapligt och operativt team har Saniona en etablerad forskningsorganisation i Köpenhamn och huvudkontor nära Boston, Massachusetts, USA. Bolagets aktie är listad på Nasdaq Stockholm Small Cap (OMX: SANION). Läs mer på www.saniona.com.

Om Tesomet

Prövningsläkemedlet Tesomet är en fastdoskombination av tesofensin (en trefaldig monoaminåterupptagshämmare) och metoprolol (en beta-1-selektiv blockerare). Saniona avancerar Tesomet för behandling av hypotalamisk fetma och Prader-Willis syndrom, två allvarliga och sällsynta störningar som kännetecknas av fetma och störd aptitreglering. Programmen är för närvarande i klinisk utvecklingsfas. Saniona har rättigheterna till Tesomet i hela världen och undersöker aktivt möjligheterna att avancera behandlingen globalt.

Om hypotalamisk fetma (HO)

Hypotalamisk fetma (HO) är en sällsynt sjukdom som orsakas av en skada i ett område i hjärnan som kallas hypotalamus. Skadan har vanligen ådragits i samband med kirurgi för att avlägsna en sällsynt, godartad tumör (kraniofaryngiom). HO kännetecknas av snabb, våldsam och svårhanterlig viktuppgång som fortgår även om matintaget begränsas. Patienter kan lida av hyperfagi, okontrollerbar hunger, och kan även uppvisa onormalt födosöksbeteende som att stjäla mat. Andra symptom innefattar minnesförsämring, uppmärksamhetsstörningar, överdriven sömnhet och letargi dagtid, impuls kontrollstörningar, och depression. HO-patienter löper även en förhöjd risk att utveckla fetmarelaterad samsjuklighet som typ 2-diabetes, icke alkoholbetingad fettlever, hypertoni, stroke och hjärtsvikt. I slutändan är 20-årsmortaliteten för överlevande med kraniofaryngiom som har stora skador i hypotalamus åtminstone tre gånger så hög som för överlevande utan stora skador i hypotalamus. Det finns inga mediciner godkända specifikt för HO, och sjukdomen saknar bot. Många HO-patienter behandlas med allmänna behandlingar mot fetma, som kirurgi, medicinering och rådgivning, dock i regel utan resultat. Antalet patienter med HO uppskattas ligga mellan 10 000 och 25 000 i USA och mellan 16 000 och 40 000 i Europa.