



## PRESSMEDDELANDE

26 april 2018

### Saniona går in i andra delen av Fas 2a-studien med Tesomet för Prader-Willis syndrom baserat på positiva resultat hos vuxna patienter

**Saniona, ett ledande bioteknikbolag inom jonkanaler, meddelade idag att bolaget har fått godkännande på att inleda den andra delen av sin Fas 2a-studie med Tesomet på ungdomar med Prader-Willis syndrom (PWS). Tesomet har potential att avsevärt minska vikt och hyperfagi, som kännetecknas av en extrem och omätlig aptit hos patienter med PWS - ett svårt och invalidiserande problem för dessa patienter och deras vårdgivare.**

“Vi är glada att fortsätta den kliniska utvecklingen av Tesomet för Prader-Willis syndrom efter de uppmuntrande resultaten från vår explorativa Fas 2a-studie på vuxna patienter och positiva diskussioner med viktiga opinionsledare inom området. Genom att sträva efter en orphan indication som Prader-Willis syndrom kan vi utveckla och kommersialisera vår egen produkt i USA och Europa på en relativt kort tid och till en begränsad investering i en indikation där de kommersiella möjligheterna framstår som mycket stora”, kommenterar Jørgen Drejer, VD på Saniona. “Vi tror att en låg dos Tesomet kan visa sig vara en bra behandling för ungdomar med denna för närvarande obehandlade sjukdom. Patienter som lider av Prader-Willis syndrom är för närvarande utsatta för invalidiserande hyperfagi, vilket har allvarliga konsekvenser för patienterna och deras familjer och är på samma gång mycket kostsam för betalande parter och samhälle.”

Denna explorativa randomiserade, dubbelblinda, placebokontrollerade Fas 2a-studie på patienter med PWS initierades i april 2016 och delades i två delar. Under 2017 avslutade Saniona den första delen av studien som inkluderade nio vuxna patienter. Resultaten från denna studie visade att Tesomet kan ge kliniskt betydelsefull viktminskning och en signifikant minskning av hyperfagi. Studien visade också att patienter med PWS ska ha lägre doser av Tesomet jämfört med andra patientgrupper. Den andra delen av denna studie kan eventuellt inkludera upp till 10 ungdomar med PWS. Baserat på resultaten från den första delen av studien får patienterna antingen Tesomet (tesofensine 0,125 mg + metoprolol 25 mg dagligen) eller placebo vid en 3:2 randomisering med en primär ändpunkt som undersöker förändringen i kroppsvikt under 12 veckors behandling jämfört med placebo. Sekundära mål är att undersöka ätbeteende och hungerkänsla (hyperfagi), kroppssammansättning, lipider och andra metaboliska parametrar. Studien innehåller också omfattande bedömningar av tolerans-, säkerhets- och farmakokinetiska parametrar i denna patientpopulation.

Dr Roman Dvorak, Sanionas Chief Medical Officer, tillade: "Datan som stödjer Tesomet för behandling av Prader Willis-patienter har varit imponerande. Under den första tremånaders studien upplevde patienterna inte bara en betydande viktminskning utan också en markant minskning av matbegär, som mäts genom hyperfagi-frågeformuläret. Vi fortsätter nu studien med en lägre dos på ungdomar med PWS. "

Ytterligare information om studien finns på [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov).



### **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 26 april 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, BenevolentAI, Productos Medix, S.A de S.V och Cadent Therapeutics. Saniona har sitt kontor i Köpenhamn där bolaget har en forskningsite 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)*

### **Om Prader-Willi Syndrom (PWS)**

Prader-Willi 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 omätligt aptit oavsett hur mycket patienterna än äter. Som ett resultat, lider många av de som drabbas av PWS av sjuklig fetma och ökad dödlighet. Hetsättning 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 liv<sup>1</sup>. PWS förekommer i cirka en på 15 000 födselar<sup>2</sup>. 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, omätligt hunger, extrem fetma och utvecklingsstörning.

---

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

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