

PRESSMEDDELANDE

28 december 2021

Saniona inleder klinisk studie i Fas 2b med Tesomet för Prader-Willis syndrom

Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, tillkännager idag starten för en klinisk studie i Fas 2b med Tesomet på patienter med Prader-Willis syndrom (PWS). Prövningsläkemedlet Tesomet är en fastdoskombination av tesofensin (en trefaldig monoaminåterupptagshämmare) och metoprolol (en selektiv beta-1-blockerare). Resultat från studien väntas under första halvan av 2023.

"Starten av denna kliniska Fas 2b-studie med Tesomet för Prader-Willis syndrom följer vår nyligen initierande Fas 2b-studie med Tesomet för hypotalamisk fetma - två allvarliga sjukdomar med stora icke tillgodosedda behov", säger Rudolf Baumgartner, M.D., Sanionas Chief Medical Officer och Head of Clinical Development. "Utöver dessa två studier genomför vi också en klinisk Fas 1-studie av SAN711, vilket innebär att Saniona avslutar 2021 med tre pågående kliniska studier. Detta är en betydande prestation och reflekterar det hårda arbete och expertis som våra kliniska, regulatoriska, tekniska verksamhets- och kvalitetsteam besitter."

Fas 2b-studien i PWS består av en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad behandlingsperiod om 16 veckor följt av en 36 veckor lång öppen förlängning. Studien förväntas bestå av ungefär 120 deltagare med genetiskt bekräftad PWS. Inledningsvis vuxna (ålder 18 till 65) och sedan, efter interimsgenomgång av initiala data av dataövervakningskommittén och FDA, kommer studien expandera till att innefatta patienter i tonåren (ålder 13 till 17). Under den 16 veckor långa dubbelblinda delen av studien kommer deltagarna att randomiseras till antingen en daglig dosering av Tesomet på någon av tre olika dosnivåer, eller placebo. Under den 36 veckor långa öppna förlängningen kommer alla deltagare som önskar fortsätta behandlingen, även de som inledningsvis fått placebo, att ges den högsta tolererade dosen Tesomet som fastställts under den dubbelblinda delen. Det primära målet med studien kommer att vara förändringen av hyperfagi vid vecka 16 mätt enligt the Hyperphagia Questionnaire for Clinical Trials (HQ-CT), ett frågeformulär för vårdgivare som utvärderar födosöksbeteende, till exempel hur ofta smygätande förekommer och hur mycket tid som ägnas åt att prata om mat. HQ-CT har använts som det primära effektmåttet i de flesta kliniska studier av PWS. Sekundära effektmått är bland annat förändring av kroppsvikt, förändring av hyperfagin enligt vårdgivarens bedömning, förändring av sjukdomens allmänna allvarlighetsgrad enligt läkarens bedömning samt förändring av kliniskt allmäntillstånd enligt läkarens bedömning.

Den kliniska studien genomförs på ett flertal platser runtom i världen, däribland USA, Nya Zeeland, Australien och ett antal länder i Europa, bland annat Storbritannien, Sverige, Italien och Spanien. Mer information finns tillgänglig på www.praderwillissyndromestudy.com och www.clinicaltrials.gov.

"Det finns idag inga godkända behandlingar för hyperfagi, den okontrollerbara hunger som utgör ett av de mest nedbrytande symptomen för PWS", säger Paige Rivard, VD för Prader-Willi Syndrome Association USA. "Det inger hopp att Saniona tar sig an hyperfagi och vi ser fram emot att samarbeta med dem och ge vårt stöd till den här kliniska studien genom utbildning och utåtriktad verksamhet inom vårt community."

"Som läkare och forskare med över 40 års erfarenhet av klinisk praktik, har jag bedrivit omfattande forskning på PWS och vårdat många patienter och familjer berörda av sjukdomen", säger Merlin G. Butler, M.D., Ph.D., professor i psykiatri,

beteendevetenskap och pediatrik samt chef för avdelningen för forskning och genetik och KUMC Genetics Clinic vid University of Kansas Medical Center. "Det komplexa uttryck som PWS tar sig har gjort det svårt att utveckla läkemedel för sjukdomen, men de första resultaten för Tesomet ser uppmuntrande ut och jag ser fram emot resultaten från den här kliniska studien."

Saniona har tidigare utvärderat Tesomet i en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad första Fas 2-studie på vuxna och ungdomar med PWS. Vuxna patienter som gavs Tesomet uppnådde en statistiskt signifikant minskning av hyperfagi, liksom viktnedgång. För patienter i tonåren påvisades dosberoende reducering av hyperfagi och viktnedgång i öppna förlängningar av studien. Tesomet har erhållit [särsläkemedelsklassning för PWS](#) från FDA, vilka också har bekräftat att Tesomet kan avanceras enligt det regulatoriska förfarandet 505(b)(2). Saniona samarbetar med Foundation for Prader-Willi Research (FPWR), Prader-Willi Syndrome Association USA (PWSA-USA) och International Prader-Willi Syndrome Organisation (IPSWO) för att få underlag till utformningen av den kliniska studien och de kliniska utvecklingsprocesserna och för att öka kännedomen bland både patienter och anhöriga berörda av PWS.

Saniona utvärderar också Tesomet i en Fas 2b-studie för behandling av hypotalamisk fetma (HO). FDA beviljade [särsläkemedelsklassning för Tesomet inom HO](#) i juli 2021.

För ytterligare information, vänligen kontakta

Trista Morrison, Chief Communications Officer, Saniona. Kontor: +1(781) 810-9227. E-post: trista.morrison@saniona.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 28 december 2021 kl. 17.00 CET.

Om Saniona

Saniona är ett biofarmaceutiskt företag i klinisk fas som fokuserar på att upptäcka, utveckla och kommersialisera innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar där tillgängliga behandlingsalternativ saknas. Bolagets huvudkandidat, Tesomet, undergår just nu kliniska studier i mellanfas på hypotalamisk fetma och Prader-Willis syndrom – allvarliga, sällsynta sjukdomar som kännetecknas av kraftig viktuppgång, störd ämnesomsättning och okontrollerbar hunger. Saniona har utvecklat en proprietär plattform för läkemedelsupptäckt som är förankrad i IONBASE™, en databas som omfattar över 130 000 föreningar varav över 20 000 är Sanionas proprietära jonkanalsmodulatorer. Med sin expertis inom jonkanaler avancerar Saniona två helägda jonkanalsmodulatorer, SAN711 och SAN903. SAN711 med möjliga tillämpningar inom behandlingen av sällsynta neuropatiska sjukdomar genomgår klinisk prövning i Fas 1, och SAN 903 avanceras i preklinisk utveckling för sällsynta inflammatoriska, fibrotiska och hematologiska sjukdomar. Under ledning av ett erfaret vetenskapligt och operativt team har Saniona en etablerad forskningsorganisation i Köpenhamnsområdet i Danmark 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 selektiv beta-1-blockerare). Saniona avancerar Tesomet för hypotalamisk fetma och Prader-Willis syndrom, två allvarliga sällsynta sjukdomar som kännetecknas av kraftig viktuppgång, störd ämnesomsättning och okontrollerbar hunger. Programmen är för närvarande i klinisk utvecklingsfas. Saniona har rättigheterna till Tesomet i hela världen och undersöker aktivt möjligheterna att avancera behandlingen globalt.

Om Prader-Willis syndrom (PWS)

Prader-Willis syndrom (PWS) är en sällsynt genetisk sjukdom som ger upphov till en rad olika symptom. Patienterna lider i många fall av hyperfagi, okontrollerbar hunger och kan även uppvisa onormalt födosöksbeteende som att stjäla mat. Till övriga symptom hör onormal tillväxt och kroppssammansättning; låg muskeltonus (hypotoni); och sociala, känslomässiga och kognitiva nedsättningar. Hyperfagin beskrivs av vårdgivare som en av de mest besvärliga aspekterna med PWS, eftersom den omätliga hungern kvarstår oavsett hur mycket patienten äter. Omsorgsgivare tvingas ofta sätta lås på kylskåp och förvaringsutrymmen för mat. Många av de som drabbas av PWS utvecklar fetma och får förkortad livslängd. Dödligheten är hög. Till de vanliga dödsorsakerna vid PWS hör andnings- och hjärtsvikt, infektioner, kvävning, brusten tarm och lungemboli. Det finns inga mediciner godkända specifikt för den hyperfagi som förknippas med PWS, och sjukdomen saknar bot. Nuvarande behandling är symptomberoende och inbegriper ofta hormonell substitution, inklusive

av tillväxthormon. Mellan 11 000 och 34 000 patienter uppskattas vara drabbade av PWS i USA, och mellan 17 000 och 50 000 i Europa.