

PRESSMEDDELANDE

23 november 2020

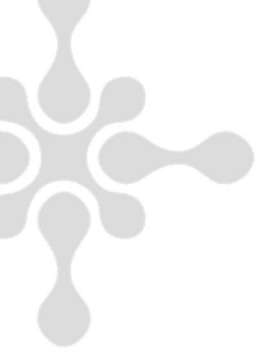
Saniona rapporterar positiva topline-resultat från den öppna förlängningen av Fas 2-studien med Tesomet mot hypotalamisk fetma

- Tesomet tolererades väl av patienterna med hypotalamisk fetma under hela den 48 veckor långa studien (24 veckor dubbelblind del följt av 24 veckor öppen förlängning). Inga kliniskt betydelsefulla skillnader kunde noteras avseende hjärtfrekvens eller blodtryck och samtliga patienter som påbörjade den öppna förlängningsstudien slutförde också studien.
- De patienter som fick Tesomet under hela den 48 veckor långa studietiden påvisades statistiskt signifikanta och kliniskt meningsfulla minskningar av kroppsvikt och midjeomfång från baseline till vecka 48, liksom förbättrad glykemisk kontroll. De förbättringar som observerades under den första dubbelblinda delen av studien bibehölls under hela den senare öppna förlängningsstudien.
- Även för de patienter som fick placebo under den dubbelblinda delen av studien och sedan Tesomet under den öppna förlängningsstudien påvisades minskningar av kroppsvikt och midjeomfång efter övergången till Tesomet.
- Saniona kommer att hålla en webbsändning med Dr. Ulla Feldt-Rasmussen på tisdag, 24 november 2020, kl. 14.00 östkusttid i USA (20.00 svensk tid, CET).

Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, tillkännager idag positiva topline-resultat från den öppna förlängningen av sin Fas 2-studie med Tesomet genomförd på patienter med hypotalamisk fetma (HO). För patienter som behandlades med Tesomet under nästan ett år (24 veckor dubbelblind del följt av 24 veckor öppen förlängning) påvisades statistiskt signifikanta och kliniskt meningsfulla minskningar av kroppsvikt och midjeomfång, och en förbättrad glykemisk kontroll. Inga skillnader av klinisk betydelse kunde noteras avseende hjärtfrekvens eller blodtryck under studiens lopp.

"Hypotalamisk fetma är en sällsynt sjukdom som kännetecknas av allvarlig och funktionsnedsättande fetma som ofta kompliceras av depression, impulskontrollstörningar, komplicerade symptom från nödvändig ersättning av hypofyshormon samt ökad risk för kardiometabola sjukdomar. Det finns inga godkända läkemedel för behandling av HO, och vanliga metoder för viktneidgång som kirurgi, medicinering och livsstilsrådgivning har i stort sett ingen effekt mot den här sällsynta sjukdomen", säger Professor Ulla Feldt-Rasmussen, M.D., DMSc. från avdelningen för Medicinsk endokrinologi och metabolism vid Rigshospitalet, Köpenhamns Universitetssjukhus, som är huvudansvarig prövare i Fas-2-studien. "Resultaten från den här nästan årlånga studien visar på Tesomets potential för att bidra till hanteringen av ett flertal huvudsymptom för HO – inte bara viktuppgången utan även den nedsatta metabola funktion som kan leda till allvarliga diabeteskomplikationer. Jag ser fram emot den fortsatta utvärderingen av Tesomet i ytterligare kliniska studier."

"Resultaten av den öppna förlängningsstudien förstärker den lovande profil som Tesomet visat i den placebo-kontrollerade delen av Fas 2-studien på patienter med hypotalamisk fetma", säger Rudolf Baumgartner, M.D., Sanionas Chief Medical Officer och Head of Clinical Development. "Om Tesomet godkänns kan det bli den första



behandlingen som utformats för den här sällsynta sjukdomen. Vi ser fram emot att fortsätta våra diskussioner med FDA och identifiera vägen framåt för att Tesomet ska nå fram till patienter med HO, som är i desperat behov av behandlingsalternativ.”

Summering av den öppna förlängningsstudiens topline-data:

- **Säkerhet:** Studiens primära effektvariabel var Tesomet's övergripande säkerhet och tolerabilitet för patienter med HO. Tesomet visade sig vara väl tolererat. De biverkningar som observerades i den öppna förlängningsstudien (OLE) var i allmänhet lindriga och stämde överens med de som observerades under den dubbelblinda delen. Till de vanligaste biverkningarna hörde muntorrhet, ledsmärta, huvudvärk och yrsel. Tre fall av hjärtklappning noterades bland de placebopatienter som växlats över till Tesomet, men inga fall i gruppen som kvarstod på Tesomet under hela studietiden om 48 veckor. En så kallad allvarlig oönskad medicinsk händelse uppstod, kopplad till magsmärta som gick över utan behandling. Inga skillnader av klinisk betydelse kunde noteras avseende hjärtfrekvens eller blodtryck under loppet av den nära årslånga studien. Samtliga 18 patienter som påbörjade den öppna förlängningsstudien slutförde den.
- **Kroppsvikt:** Som tidigare meddelats ledde behandling med Tesomet till en statistiskt signifikant genomsnittlig nedgång i kroppsvikt om 6,28 procent jämfört med placebo ($p=0,0169$) under den 24 veckor långa dubbelblinda delen av studien. Denna nedgång bibehölls under den 24 veckor långa öppna uppföljningen, där patienterna hade en statistiskt signifikant genomsnittlig nedgång i kroppsvikt om 5,96 procent vid vecka 48 ($p=0,008$ jämfört med baseline). För patienter som fick placebo under den dubbelblinda delen av studietiden och sedan växlades över till Tesomet under vecka 24 för den öppna uppföljningen påvisades dessutom en kliniskt meningsfull genomsnittlig nedgång i kroppsvikt om 4,95 procent mellan baseline och vecka 48.
- **Midjeomfång:** Som tidigare meddelats ledde behandling med Tesomet till en minskning av midjeomfång om 5,04 procent jämfört med placebo ($p=0,0519$) under den dubbelblinda delen av studien. Denna nedgång bibehölls under den öppna uppföljningen, där patienterna hade en minskning av midjeomfång vid vecka 48 om 5,07 procent ($p=0,003$). För patienter som fick placebo under den dubbelblinda delen av studietiden och sedan växlades över till Tesomet under vecka 24 för den öppna uppföljningen påvisades dessutom en minskning av midjeomfång om 2,24 procent mellan baseline och vecka 48.
- **Glykemisk kontroll:** Som tidigare meddelats var det två patienter med diabetes (T2D) som fick Tesomet under den dubbelblinda delen av studien. Hos dem påvisades en markant minskning av HbA1c (48,8 procent vid vecka 24) medan ingen förändring noterades hos normoglykemiska patienter. De två diabetespatienterna fortsatte att få Tesomet under den öppna uppföljningen, och minskningen av HbA1c kvarstod (46,17 procent vid vecka 48).

Saniona avser att presentera och/eller publicera ytterligare data från studien i lämpligt kollegialt granskat vetenskapligt forum i framtiden. Saniona avser vidare att göra dessa data tillgängliga för FDA i den pågående kommunikationen om planer för att säkerställa att Tesomet, om det godkänns, endast ges till sådana patienter som det är lämpat för. I avvaktan på denna samordning med FDA har Saniona för avsikt att inleda en Fas 2b-studie på HO under första halvåret 2021.

Om Fas 2-studien

I denna randomiserade, dubbelblinda, placebokontrollerade Fas 2-studie utvärderades en daglig administration av Tesomet hos patienter med HO. Den primära effektvariabeln var övergripande säkerhet och tolerabilitet enligt alla säkerhetsdata som insamlats under studien, däribland oönskade medicinska händelser, laboratoriedata, blodtryck och hjärtfrekvens. Sekundära effektvariabler inkluderade kroppsvikt, midjeomfång, glykemisk kontroll och andra mätvärden. I den dubbelblinda delen av studien fick patienterna antingen Tesomet eller matchande placebo (randomiserade 2:1) under 24 veckor. Totalt 21 patienter (13 Tesomet, 8 placebo) inkluderades i den modifierade



intent-to-treat analysen hänfört till den dubbelblinda perioden. Topline-resultat från den dubbelblinda delen av studien tillkännagavs i ett [pressmeddelande](#) i april 2020.

Alla 18 patienter som slutförde den dubbelblinda delen av studien erbjöds möjlighet att få Tesomet under ytterligare 24 veckor i en öppen förlängningsstudie. Samtliga 18 patienter valde att delta i den öppna förlängningen, och alla slutförde den. Av patienterna i den öppna förlängningen var 83,3 procent kvinnor. I genomsnitt var åldern 44,9 år, vikten 110,4 kg (243 lbs) och BMI 37,2 kg/m². Ytterligare information om studien finns tillgängliga på [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov).

Webbsändning:

Tisdagen den 24 november 2020, kl. 14.00 ET (20.00 svensk tid, CET) kommer Saniona att hålla en webbsändning där Dr. Feldt-Rasmussen går igenom data från studien. Presentationen kommer att webbsändas live via: <https://edge.media-server.com/mmc/p/33xc2m4t>. Därefter presentationen under cirka 90 dagar finnas tillgänglig på sidan "Företagspresentationer" på Sanionas webbplats: <https://saniona.com/se/investors/company-presentations/>.

För mer information, vänligen kontakta

Trista Morrison, Chief Communications Officer. 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 23 november 2020 kl. 17:00 CET.

Om Saniona

Saniona är ett biofarmaceutiskt företag som fokuserar på forskning, utveckling och kommersialisering av behandlingar mot sällsynta sjukdomar i centrala nervsystemet. Bolaget har fyra program i klinisk utveckling. Saniona avser att på egen hand utveckla och kommersialisera behandlingar av sällsynta indikationer som Prader-Willis syndrom och hypotalamisk fetma. Forskningen fokuseras på jonkanaler och företaget har en bred portfölj av forskningsprogram. Saniona har också utlicensieringssamarbeten med flera bolag. Saniona har kontor i Köpenhamn och i Boston, Mass. i USA. Bolagets aktier är noterade 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 sjukdomar 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 kännetecknas av snabb och svårhanterlig viktuppgång och okontrollerbar hunger. Andra symptom kan vara minnesförsämring, uppmärksamhetsstörning, impuls kontrollstörning och depression, liksom en förhöjd risk för hjärt- och kärlsjukdom och ämnesomsättningsrubbnings. I nuläget finns ingen bot mot sjukdomen. Allmänna behandlingar mot fetma som kirurgi, medicinering och rådgivning provas ofta mot HO, men i regel utan framgång. Det finns inga mediciner som är godkända specifikt för HO. Orsaken till HO är en skada på hypotalamus som vanligen ådragits i samband med kirurgi för att avlägsna en sällsynt, godartad tumör (kraniofaryngiom). Tumören kan uppstå vid vilken ålder som helst, men den är vanligast hos barn och äldre, vilket innebär en belastning för både patienten och de närstående. HO förekommer hos ungefär 1 av 50 000 till 100 000 personer.

Saniona AB (publ)
Smedeland 26B, DK-2600
Glostrup, Danmark

Saniona Inc.
500 Totten Pond Rd., Suite 620
Waltham, MA 02451 USA

Web: saniona.com E-post: saniona@saniona.com