

## PRESSMEDDELANDE

3 mars 2021

### Saniona får sär läkemedelsklassning av FDA för Tesomet mot Prader-Willis syndrom

**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 som behandling av Prader-Willis syndrom (PWS). Saniona förbereder starten av en Fas 2b-studie med Tesomet på PWS under första halvåret i år.**

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. Antalet patienter med PWS uppskattas vara mellan 11 000 och 34 000 i USA och mellan 17 000 och 50 000 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.

"Det finns för närvarande inget botemedel för Prader-Willis syndrom, och heller inga godkända mediciner för att hantera den okontrollerbara hunger eller hyperfagi som den sällsynta sjukdomen kännetecknas av", säger Rudolf Baumgartner, Sanionas Chief Medical Officer och Head of Clinical Development. "Klassningen som sär läkemedel kommer att hjälpa oss att avancera Tesomet så skyndsamt och effektivt som möjligt."

Saniona har tidigare utvärderat Tesomet i en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad Fas 2a-studie på vuxna och ungdomar med PWS. Vuxna patienter som gavs Tesomet uppnådde vid en dos av 0,5 mg per dag en statistiskt signifikant begränsning av hyperfagi liksom en kliniskt meningsfull vikt nedgång. En mindre förlängningsstudie på patienter i tonåren visade att Tesomet verkade tolereras väl vid lägre doser (0,125 mg per dag och 0,25 mg per dag) och indikerade dosberoende effekter på vikt och hyperfagi.

Saniona planerar för närvarande att inleda en Fas 2b-studie med Tesomet på PWS under första halvåret 2021. Som förberedelse för studien har Saniona inlett förfarandet med en tillståndsansökan för läkemedelsprövning (IND) till FDA och valt ut ett kontraktsforskningsföretag (CRO) som kommer att bistå i genomförandet. Just nu pågår urvalet och bedömningen av platserna för den kliniska studien i USA och runt om i världen. Saniona har också beslutat sig för en kontraktstillverkare av Tesomet för de kliniska Fas 2b- och Fas 3-studierna, och kontraktstillverkaren arbetar aktivt med den kliniska produktionen. Saniona har dessutom inlett ett flertal partnerskap med intresseorganisationer för PWS för att försäkra sig om att vårdgivarnas och patienternas perspektiv kommer med i den kliniska försöksprocessen, och för att sprida kunskap om kliniska studier till de berörda.

Saniona utvärderar också Tesomet för behandling av hypotalamisk fetma (HO), och avser att inleda en Fas 2b-studie inom denna indikation under första halvan av året.

#### För mer information, vänligen kontakta

Trista Morrison, Chief Communications Officer, Saniona. Kontor: + 1 (781) 810-9227. E-post: [trista.morrison@saniona.com](mailto: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 3 mars 2021 kl. 13.00 CET.*

## **Om Saniona**

Saniona är ett biofarmaceutiskt företag som fokuserar på att upptäcka, utveckla och leverera innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar världen över. Bolagets huvudkandidat, Tesomet, befinner sig i klinisk mellanfas avseende de sällsynta sjukdomarna Prader-Willis syndrom och hypotalamisk fetma. Saniona har även en bred pipeline baserad på den egna plattformen för läkemedelsupptäckt inom jonkanaler, där huvudkandidaten SAN711 ska inleda fas 1-studier på sällsynta neuropatiska sjukdomar. Saniona avser att utveckla och kommersialisera sina produkter inom sällsynta sjukdomar internt. Andra program har utlicensierats, vilket kan tillföra ytterligare intäkter i framtiden. Saniona är baserat i Köpenhamn i Danmark och i Boston, Mass. i USA. Bolagets aktier är noterade på Nasdaq Stockholm Small Cap (OMX: SANION). Läs mer på [www.saniona.com](http://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 Prader-Willis syndrom (PWS)**

Prader-Willis syndrom (PWS) räknas som den vanligaste genetiska orsaken till livshotande fetma, med uppskattningsvis 11 000 till 34 000 drabbade patienter i USA och 17 000 till 50 000 i Europa. Sjukdomen beror på att ett genkluster på kromosom 15 raderats eller förlorat sin funktion, vilket resulterar i att signaleringen i hjärnans hunger/mättnadscentrum (hypotalamus) inte fungerar. Många av de drabbade av PWS lider av omätlig aptit (hyperfagi); 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, skafferier och förvaringsutrymmen som innehåller mat, och många av de som drabbas av PWS utvecklar sjuklig fetma och får förkortad livslängd. Dödligheten är hög. Till de vanliga dödsorsakerna vid PWS hör sjukdomar i andningsorganen, hjärt- och kärlsjukdom, infektioner, kvävning, brusten tarm och lungemboli. Det finns inga mediciner godkända specifikt för den hyperfagi som förknippas med PWS, och sjukdomen saknar bot. Behandlingen är symptomberoende och inbegriper ofta hormonell substitution. Om patienter med PWS lyckas undvika fetma och om de komplikationer som uppstår hanteras väl, är den förväntade livslängden normal eller nästan normal, och de flesta kan leva ett hälsosamt liv.