

PRESSMEDDELANDE

9 juni 2020

Saniona får positivt besked från FDA om den regulatoriska hanteringen av Tesomet mot Prader-Willis syndrom (PWS)

Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, meddelar idag att man genomfört ett pre-IND-möte (*Investigational New Drug*) med det amerikanska läkemedelsverket FDA:s avdelning för neurovetenskap och psykiatri om utvecklingen av Tesomet för behandling av Prader-Willis syndrom (PWS), en sällsynt sjukdom med ett stort och ouppfyllt medicinskt behov.

Återkopplingen på det regulatoriska spår som föreslagits för Tesomet på patienter med PWS var positiv, vilket bekräftar att Tesomet kan avanceras enligt förfarandet 505(b)2. Myndigheten instämmer vidare med Saniona vad gäller designen, den föreslagna doseringen och varaktigheten för den tilltänkta kliniska fas 2b-studien på PWS.

"Genom samspelet med FDA har Saniona fått den klarhet vi behöver för att avancera utvecklingen av Tesomet mot Prader-Willis syndrom – en förödande och sällsynt sjukdom som idag saknar bot", säger Rudolf Baumgartner, Chief Medical Officer och Head of Clinical Development på Saniona. "Vi ser fram emot att formellt lämna in vår IND-ansökan och fortsätta dialogen med FDA medan vi avancerar vårt PWS-program."

Saniona räknar med att ansöka om IND för Tesomet för behandling av PWS och inleda sin fas 2b-studie under andra halvåret 2020. Det primära effektmåttet för fas 2b-studien kommer att vara hypofagi – kroniskt överätande orsakat av oförmåga att känna mättnad – vilket är det kännetecknande symptomet på PWS. En klinisk fas 2a-studie med Tesomet har visat signifikant minskning av hypofagi hos både vuxna och ungdomar med PWS.

Saniona utvärderar också Tesomet för behandling av hypotalamisk fetma (HO), en sällsynt sjukdom som kännetecknas av snabb och allvarlig viktuppgång med ökad risk för hjärt- och kärlsjukdom och ämnesomsättningsrubbningar. Företaget redovisade positiva resultat från en klinisk fas 2-studie på HO i april 2020, och genomför nu en öppen förlängningsstudie där resultat väntas under Q4 2020. Saniona avser att få till stånd ett möte med FDA under Q4 2020 för att klarlägga den regulatoriska vägen framåt för Tesomet för behandling av HO.

För mer information, var vänlig kontakta

Rami Levin, VD, Saniona, Mobiltelefon: +1 (781) 987 3144, E-post: rami.levin@saniona.com

Rudolf Baumgartner, CMO & Head of Clinical Development, E-post: rudolf.baumgartner@saniona.com

Informationen lämnades genom ovanstående kontaktpersoners försorg för offentliggörande den 9 juni 2020 kl. 08:00 CET.



Om Saniona

Saniona är ett biofarmaceutiskt företag inom sällsynta sjukdomar, med inriktning på forskning, utveckling och kommersialisering av behandlingar av det centrala nervsystemet. Företaget 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 även ingått utlicensieringsavtal med Boehringer Ingelheim GmbH, Productos Medix, S.A de S.V och Cadent Therapeutics. Saniona är baserat i Köpenhamn i Danmark och i Boston, USA. Aktien är noterad på Nasdaq Stockholm Small Cap (OMX: SANION). Läs mer på www.saniona.com.

Om Tesomet

Tesomet är en fastdoskombination av tesofensin (en trefaldig monoaminåterupptagshämmare) och metoprolol (en β 1-blockerare). Tesofensin och Tesomet har påvisats ge kraftig viktnedgång hos överviktiga patientpopulationer genom framför allt minskad aptit och minskat matsug. Saniona avancerar Tesomet för behandling av Prader-Willis syndrom och hypotalamisk fetma, två allvarliga och sällsynta ätstörningar som kännetecknas av störd aptitreglering. De kliniska utvecklingsprogrammen är för närvarande i mellanfas till sen fas.

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) betraktas som den vanligaste genetiska orsaken till livshotande fetma och förekommer hos ungefär 1 av 15 000 nyfödda. 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. Patienterna lider av en konstant, extrem, glupande och omättlig hunger, som inte dämpas oavsett hur mycket de äter. Många av de som drabbas av Prader-Willis syndrom utvecklar därför sjuklig fetma, och dödligheten är hög. Tvångsmässigt ätande och fixering vid mat uppvisas i regel före sex års ålder. Drivkraften att äta är fysiologisk, överväldigande och svår att kontrollera. Omsorgsgivare måste se till att patienten har strängt begränsad tillgång till mat, vanligen genom att sätta lås på kylskåp, skafferier och förvaringsutrymmen som innehåller mat.

Patienter med PWS har en förkortad förväntad livslängd. Till de vanliga dödsorsakerna vid PWS hör sjukdomar i andningsorganen, hjärt- och kärlsjukdom, infektioner, kvävning, brusten tarm och lungemboli. Emellertid, 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. I nuläget finns ingen bot mot sjukdomen.