



PRESSMEDDELANDE

9 oktober 2020

Saniona mottar pre-IND-besked från FDA om den regulatoriska hanteringen av Tesomet för Prader-Willis syndrom (PWS) och hypotalamisk fetma (HO)

Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, meddelar idag att ett skriftligt besked mottagits från det amerikanska läkemedelsverket FDA som svar på pre-IND-inlagor (*Investigational New Drug*) avseende Tesomet för Prader-Willis syndrom (PWS) respektive hypotalamisk fetma (HO).

I fallet PWS gav FDA:s avdelning för neurovetenskap och psykiatri ytterligare återkoppling om utförandet av en stödjande fas 2b-studie som ska utvärdera multipla doser av Tesomet till vuxna och ungdomar med PWS. Saniona räknar med att inleda denna fas 2b-studie under första halvåret 2021.

I samband med de diskussioner som företaget kontinuerligt för med FDA undrade Saniona huruvida den planerade fas 2b-studien kunde användas som ensam pivotal studie till grund för godkännande av Tesomet för PWS. FDA tog denna begäran i beaktande. Eftersom Tesomet är en ny molekylär enhet rekommenderade myndigheten Saniona att genomföra en stödjande fas 2b-studie innan en fas 3-studie inleds för att fastställa säkerhet och effekt för de doser som avses att kommersialiseras. FDA rekommenderade vidare Saniona att planera en utvärdering av Tesomet på barn under 12 års ålder, med hänvisning till det stora icke tillgodosedda behovet inom gruppen barn med PWS.

Vad gäller HO instämde FDA:s avdelning för diabetes, lipidrubbningar och fetma inom enheten för kardiologi, hematologi, endokrinologi och njurmedicin i att förfarandet 505(b)(2) är ett lämpligt utvecklingsspår för Tesomet. Myndigheten rekommenderade att en stödjande fas 2b-studie inkluderas i det kliniska utvecklingsprogrammet för Tesomet för HO, följd av en fas 3-studie. Myndigheten uttryckte farhågor för en icke avsedd användning hos den överviktiga befolkningen i allmänhet, och föreslog att detta måste utvärderas – till exempel genom en studie av kardiovaskulärt utfall. Saniona skulle annars behöva förtydliga hur företaget avser att begränsa distributionen av Tesomet till enbart den lilla gruppen med HO. Saniona söker ytterligare vägledning från FDA för att klargöra vägen framåt för Tesomet för HO.

”Prader-Willis syndrom och hypotalamisk fetma är sällsynta sjukdomar där det finns avsevärda icke tillgodosedda behov, som innebär stora bördor för vårdgivarna. I nuläget finns det inga behandlingar specifikt godkända för endera indikationen”, säger Rami Levin, koncernchef och VD för Saniona. ”Vi har nu en tydlig väg framåt för utvecklingen av Tesomet som en ny behandling för PWS. Vi ser fram emot fortsatta kontakter med FDA i syfte att identifiera det bästa spåret för att nå fram med Tesomet till patienter med det allvarliga och sällsynta tillståndet HO och samtidigt undvika ett olämpligt bruk hos patienter med allmän fetma.”

För mer information, var vänlig 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 nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande kl. 08:00 CET den 9 oktober 2020.

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 samarbeten med Boehringer Ingelheim GmbH, Productos Medix, S.A de S.V och Cadent Therapeutics. Saniona har sin bas i Köpenhamn, och i Boston, 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 tesofensine (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) är en sällsynt sjukdom som kännetecknas av konstant, extrem, glupande och omätlig hunger (hyperfagi), som inte dämpas oavsett hur mycket patienten äter. 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. 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. 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. 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. PWS förekommer hos ungefär 1 av 15 000 nyfödda.

Om hypotalamisk fetma (HO)

Hypotalamisk fetma (HO) är en sällsynt sjukdom som kännetecknas av okontrollerbar hunger, med snabb och svårhanterlig viktuppgång som följd. Andra symptom kan vara minnesförsämring, uppmärksamhetsstörning, impulskontrollstörning och depression, liksom en förhöjd risk för hjärt- och kärlsjukdom och ämnesomsättningsrubbningar. I nuläget finns ingen bot mot sjukdomen. Allmänna behandlingar mot fetma, såsom kirurgi, medicinering och rådgivning prövas ofta mot HO, 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.