

PRESSMEDDELANDE

17 november 2021

Saniona inleder klinisk studie i Fas 2b med Tesomet för hypotalamisk fetma

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 hypotalamisk fetma (HO). Prövningsläkemedlet Tesomet är en fastdoskombination av tesofensin (en trefaldig monoaminåterupptagshämmare) och metoprolol (en selektiv beta-1-blockerare). Resultat från studien väntas under andra halvåret 2023.

"Starten av denna kliniska Fas 2b-studie representerar kulmen av det betydande arbete som utförts och den expertis som våra kliniska, regulatoriska, tekniska verksamhets- och kvalitetsteam besitter", säger Rudolf Baumgartner, M.D., Chief Medical Officer och Head of Clinical Development på Saniona. "Vi förbereder också att inleda en klinisk Fas 2b-studie med Tesomet för Prader-Willis syndrom innan årets utgång, vilket i kombination med vår pågående Fas 1-studie för SAN711, innebär att vårt team kommer att avsluta året med tre rigorösa kliniska program igång."

Fas 2b-studien består av en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad behandlingsperiod om 36 veckor följt av en 36 veckor lång öppen förlängning. Målet är att till studien rekrytera ungefär 110 deltagare, i åldern 16 år och uppåt, med hypotalamisk fetma – en sällsynt sjukdom orsakad av en skada på hypotalamus. Under den 36 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, även de som inledningsvis fått placebo, att ges den högsta tolererade dosen Tesomet som kunnat fastställas under den dubbelblinda delen. Det primära effektmåttet i studien kommer att vara den procentuella förändringen av kroppsvikt från baseline till vecka 36. Sekundära effektmått är bland annat andelen deltagare som uppfyller fördefinierade gränsvärden för viktnedgång i vecka 36, förändring i kroppsvikt från baseline till vecka 36, midjeomfång, och kroppsmasseindex (BMI).

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

Amy Wood, VD för stiftelsen Raymond A. Wood Foundation och mamma till ett barn som lever med hypotalamisk fetma, kommenterar: "Hypotalamisk fetma är en förödande sjukdom som orsakar våldsam viktuppgång även när matintaget begränsas – och ännu finns det ingen FDA-godkänd behandling. Tidigare i år erhöll Tesomet det amerikanska läkemedelsverket FDA:s första säräkemedelsklassning någonsin inom HO. En viktig milstolpe för alla som berörs av sjukdomen och det känns väldigt spännande att nu passera ännu en milstolpe i och med starten av studien."

"Det är oerhört svårt att hantera hypotalamisk fetma, eftersom vanliga metoder för behandling av fetma – livsstilsrådgivning, allmänna läkemedel mot fetma och till och med kirurgi – i stort sett är verkningslösa på den här patientgruppen", säger Ashley Shoemaker, specialistläkare, biträdande professor i pediatrik, pediatrik endokrinologi vid Vanderbilt University Medical Center. "Vi är i desperat behov av nya behandlingsalternativ för HO och jag ser fram emot att se Saniona inleda denna kliniska studie."

Saniona har tidigare utvärderat Tesomet i en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad första Fas 2-studie på vuxna med HO. I studien tolererades Tesomet i allmänhet väl och en statistiskt signifikant viktnedgång samt minskning av midjeomfång och förbättrad glykemisk kontroll kunde påvisas. Tesomet har erhållit [sär läkemedelsklassning för HO](#) från FDA, den första någonsin inom indikationen, och FDA har bekräftat att Tesomet kan avanceras enligt det regulatoriska förfarandet 505(b)(2). Saniona samarbetar med stiftelsen Raymond A. Wood Foundation för att få underlag till utformningen av den kliniska studien och de kliniska utvecklingsprocesserna, och för att öka kännedomen bland de som berörs HO.

Saniona utvärderar också Tesomet för behandling av Prader-Willis syndrom (PWS) och avser att inleda en Fas 2b-studie inom denna indikation innan året är slut. FDA beviljade [sär läkemedelsklassning för Tesomet inom PWS](#) i mars 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 17 november 2021 kl. 8.00 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 hypotalamisk fetma (HO)

Hypotalamisk fetma (HO) är en sällsynt sjukdom som orsakas av en skada i ett område i hjärnan som kallas hypotalamus. Skadan har vanligen ådragits i samband med kirurgi för att avlägsna en sällsynt, godartad tumör (kraniofaryngiom). HO kännetecknas av snabb, våldsam och svårhanterlig viktuppgång som fortgår även om matintaget begränsas. Patienter kan lida av hyperfagi, okontrollerbar hunger, och kan även uppvisa onormalt födosöksbeteende som att stjäla mat. Andra symptom innefattar minnesförsämring, uppmärksamhetsstörningar, överdriven sömnhet och letargi dagtid, impuls kontrollstörningar, och depression. HO-patienter löper även en förhöjd risk att utveckla fetmarelaterad samsjuklighet som typ 2-diabetes, icke alkoholbetingad fettlever, hypertoni, stroke och hjärtsvikt. I slutändan är 20-årsmortaliteten för överlevande med kraniofaryngiom som har stora skador i hypotalamus åtminstone tre gånger så hög som för överlevande utan stora skador i hypotalamus. Det finns inga mediciner godkända specifikt för HO, och sjukdomen saknar bot. Många HO-patienter behandlas med allmänna behandlingar mot fetma, som kirurgi, medicinering och rådgivning, dock i regel utan resultat. Antalet patienter med HO uppskattas ligga mellan 10 000 och 25 000 i USA och mellan 16 000 och 40 000 i Europa.