

## PRESSMEDDELANDE

8 mars 2021

### Saniona får återkoppling från FDA gällande den regulatoriska vägen framåt för Tesomet mot hypotalamisk fetma

**Saniona (OMX: SANION), ett biofarmaceutiskt företag med klinisk utveckling fokuserad på sällsynta sjukdomar, meddelar idag att det amerikanska läkemedelsverket FDA lämnat återkoppling som ytterligare klarlägger det regulatoriska spåret för Tesomet som behandling av hypotalamisk fetma (HO). Baserat på den erhållna återkopplingen går Saniona vidare med planerna att inleda en fas 2b-studie på HO under första halvåret innevarande år.**

"I dagsläget finns inga godkända mediciner för hypotalamisk fetma, en sällsynt sjukdom sekundär till skador i hypotalamus. Sjukdomen kännetecknas av svårhanterlig viktuppgång och kompliceras av okontrollerbar hunger", säger Rudolf Baumgartner, Sanionas Chief Medical Officer och Head of Clinical Development. "Återkopplingen från FDA är uppmuntrande, och vi ser fram emot att fortsätta den konstruktiva dialogen med myndigheten medan vi förbereder starten av vår kliniska fas 2b-studie med Tesomet."

Som Saniona tidigare meddelat har FDA påtalat risken för *off-label*-användning av Tesomet hos den överviktiga befolkningen i allmänhet. Med anledning av detta har Saniona lämnat in ett svar med ett förslag till REMS-program (*Risk Evaluation and Mitigation Strategy*), vilket ofta används för att begränsa den kommersiella distributionen till en avsedd patientgrupp med ett icke tillgodosett medicinskt behov. FDA meddelade att man instämde med förslaget och att Saniona bör påvisa att HO uppfyller kriterierna för ett icke tillgodosett medicinskt behov. Saniona föreslog vidare att 24-timmars ambulatorisk blodtrycksmätning (ABPM) och Holter-EKG skulle inkluderas i HO-programmet. Myndigheten konstaterade att robusta data från sådana analyser skulle kunna vara användbara för att avgöra graden av kardiovaskulär bedömning som behövs i fas 3. Vidare tillstod myndigheten att det innebär en utmaning att utföra dessa analyser på HO-patienter, och menade att de kan utföras i en separat studie på allmänt överviktiga personer.

Saniona räknar med att under första halvåret detta år lämna in en tillståndsansökan för läkemedelsprövning (IND) och inleda sin planerade kliniska fas 2b-studie med HO. I en 24 veckor lång dubbelblind, randomiserad, placebokontrollerad fas 2-studie på HO visade sig Tesomet tolereras väl, och de behandlade patienterna uppnådde statistiskt signifikanta viktnedgångar och kliniskt meningsfulla förbättringar av midjeomfång och glykemisk kontroll. Förbättringarna bibehölls under en 24 veckor lång öppen förlängning av studien, där inga kliniskt meningsfulla skillnader uppmättes i hjärtfrekvens eller blodtryck. Saniona utvärderar också Tesomet för behandling av Prader-Willis syndrom (PWS), 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)

*Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande 8 mars 2021 kl. 14:00 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 hypotalamisk fetma (HO)

HO är en sällsynt sjukdom som orsakas av en skada på hypotalamus, vilken vanligen ådragits i samband med kirurgi för att avlägsna en sällsynt, godartad tumör kallad kraniofaryngiom (CP). 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 onormala födosöksbeteenden, som att stjäla mat. Andra symptom innefattar minnesförsämring, uppmärksamhetsstörningar, överdriven sömnhet och letargi dagtid, impuls kontrollstörningar, depression och suicid. 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 CP åtminstone tre gånger så hög för de som har 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 ofta utan resultat. Prevalensen av HO uppskattas ligga mellan 10 000 och 25 000 i USA och mellan 16 000 och 40 000 i Europa. Den förekommer oftast hos barn och äldre, vilket innebär en belastning för både patienten och de närstående.