

## Vicore meddelar nya 36-veckorsresultat från AIR-studien som visar fortsatt sjukdomsstabilisering och ökad lungfunktion hos IPF-patienter

**Stockholm, 19 maj 2023 - Vicore Pharma Holding AB (STO: VICO) ("Vicore"), ledande inom utveckling av en ny klass av läkemedel för att stoppa sjukdomsprogress och återställa funktion, offentliggör idag en uppdaterad interimsanalys av AIR fas 2a-studien med C21 vid behandling av idiopatisk lungfibros (IPF). Med 51 inkluderade patienter visar resultaten att C21 har potential att förändra behandlingen och återställa lungfunktionen vid IPF – en progressiv och idag obotlig sjukdom.**

- C21 var fortsatt säker och väl tolererad utan behandlingsrelaterade allvarliga biverkningar
- C21 visade bibehållen långtidseffekt och vid 36 veckors behandling hade FVC\* i genomsnitt ökat till +350 ml jämfört med värden vid baslinjen, vilket är +530 ml över den förväntade nedgången hos obehandlade patienter (n=19; p=0,001)
- De uppdaterade resultaten kommer att presenteras muntligt vid den internationella kongressen som hålls av American Thoracic Society (ATS) den 21 maj och vid en webbsändning, inklusive frågestund, den 26 maj
- Vicore planerar att gå vidare till nästa steg i den kliniska utvecklingen av C21 genom att inleda en fas 2b-studie (ANDAS) och avslutar därmed nu rekryteringen till AIR-studien

\*FVC: Forcerad vitalkapacitet, ett mått på lungkapacitet

**Professor Toby Maher, Keck School of Medicine vid University of Southern California, kommenterade** "Omfattningen av den FVC-stabilisering som ses med C21 i AIR-studien skiljer sig mycket från vad vi normalt ser i klinisk praxis och är verkligen hoppingsgivande för patienterna. Om dessa resultat kan upprepas i ANDAS-studien kommer det att innebära en fundamental förändring i hur man behandlar IPF med möjlighet att stoppa dess progression och återställa lungfunktionen."

AIR-studien<sup>[1]</sup> är en öppen, multicenter, enarmad 24-veckorsstudie med en 12-veckors förlängning som utvärderar säkerheten och effekten av C21, en angiotensin II typ 2-receptoragonist (ATRAG), hos patienter med IPF. Studien har nu inkluderat 51 patienter. Vid analystillfället hade 27 patienter genomfört 24 veckors behandling med en genomsnittlig FVC-ökning om +50 ml och en genomsnittlig ökning baserat på tre besök om +110 ml (p=0,007 jämfört med den förväntade nedgången hos obehandlade patienter). 19 patienter hade avslutat 36 veckors behandling med en genomsnittlig ökning av FVC om +350 ml och en genomsnittlig ökning baserad på tre besök om +220 ml (p=0,001 jämfört med den förväntade nedgången hos obehandlade patienter). Av de 19 patienter som hade avslutat 36 veckors behandling uppvisade 17 av dem ett FVC-värde som var bättre än vad som skulle ha förväntats i en obehandlad population. Det nya datasetet visar en stabilisering av lungkapaciteten redan vid vecka 6 och, i linje med tidigare interimsanalys, en efterföljande ökning av FVC från vecka 16 till 36. Med nu dubbelt så många patienter, i jämförelse med interimsanalysen i november 2022, bekräftas den tidigare rapporterade tidiga stabiliseringen följt av en ökning av lungfunktionen vilket tyder på att C21 har potential att förändra behandlingen av IPF.

**Carl-Johan Dalsgaard, VD för Vicore, kommenterade** "Den långvariga stabiliseringen och ökningen av FVC är unik för C21 och överensstämmer med verkningsmekanismen för en ATRAG. Att återställa alveolär integritet, vilket C21 gör, är nyckeln vid behandling av IPF."

C21 var fortsatt säker och väl tolererad utan behandlingsrelaterade allvarliga biverkningar; endast en låg andel patienter upplevde fortsatt sjukdomsprogression eller förvärrad hosta, och inga gastrointestinala tolerabilitetsproblem rapporterades. Enligt patienternas och utredarnas gemensamma bedömningar hade 94 % (vid vecka 12) respektive 96 % (vid vecka 24) en positiv nytta /riskprofil.

Rekryteringen till AIR-studien kommer nu att avslutas för att fullt ut fokusera på nästa steg i utvecklingen, fas 2b ANDAS-studien. Vicore har engagerat världsledande experter och patientorganisationer i sin rådgivande kommitté för att utforma och framgångsrikt genomföra studien.

**Rohit Batta, CMO för Vicore säger** "Vi är glada över att se att den tidigare rapporterade långvariga stabiliseringen och ökningen av FVC i AIR-studien fortsatt håller i sig med ett fördubblat antal patienter. Dessa resultat är mycket uppmuntrande med hänsyn till den framtida kliniska utvecklingen av C21 och vår ambition att kunna erbjuda en behandling till patienter med IPF så snabbt som möjligt."

#### **Biomarkörer validerar C21 resultatet ytterligare**

De kliniska fynden med FVC har bekräftats med relevanta biomarkörer som ytterligare validerar C21. FVC korrelerade starkt med lungvolymen ( $p=0,001$ ) mätt genom 3D-rekonstruktioner av datortomografiska lungbilder, vilket styrker korrektheten i FVC-mätningarna. Vidare visade lungbilderna signifikant mindre lungfibros i tidig IPF jämfört med etablerad IPF ( $p<0,02$ ), och FVC-mätningarna efter 36 veckors behandling visade en högre grad av FVC-ökning hos patienterna med tidig IPF. Detta är i linje med C21s verkningsmekanism, som främjar alveolär läkning. C21 visade sig också minska biomarkören TGF $\beta$ 1 med 57% efter 24 veckors C21-behandling ( $n=18$ ). TGF $\beta$ 1 är en nyckelmediator av fibros och dess minskning har konsekvent påvisats i cellkulturer, djurmodeller såväl som i skivor av lungvävnad från IPF-patienter som exponerats för C21.

#### **Muntlig presentation under ATS den 21 maj**

Den uppdaterade interimanalysen kommer att presenteras av professor Toby Maher, Keck School of Medicine vid University of Southern California, under ATS-kongressen i Washington, DC söndagen den 21 maj 2023 kl 2:51 pm EDT (under session A99).

#### **Webbsänd presentation den 26 maj**

Vicore kommer att hålla en webbsändning inklusive en frågestund för att presentera resultaten från fas 2a AIR-studien med C21 i IPF.

**C21 i IPF** – Presentation of an advanced interim analysis (presentationen sker på engelska)

**Tid och Datum:** Fredag 26e Maj, 2023 08:00 EST/14:00 CET

**Anmälan:** <https://stream.brrmedia.co.uk/broadcast/645cb5017935152b5ae742f1>

Webbsändningen kommer att finnas tillgänglig efter evenemanget på: <https://vicorepharma.com/investerare/events-presentationer/>

**För ytterligare information, vänligen kontakta:**

Carl-Johan Dalsgaard, VD

Tel: +46 70 975 98 63

[carl-johan.dalsgaard@vicorepharma.com](mailto:carl-johan.dalsgaard@vicorepharma.com)

Optimum Strategic Communications

Mary Clark, Hana Malik, Katie Flint

Tel: +44 20 3882 2119

[vicore@optimumcomms.com](mailto:vicore@optimumcomms.com)**Om idiopatisk lungfibros (IPF)**

IPF är en progressiv, dödlig fibrotisk lungsjukdom som förekommer främst hos medelålders och äldre vuxna. Medellivslängden från diagnos är 3-5 år. En ökad prevalens av fibrotiska sjukdomar i kombination med en ökande geriatrisk population driver den framtida tillväxten av IPF-patientpopulationen. IPF klassas som en sällsynt sjukdom med en global uppskattad prevalens mellan 0,3 och 4,5 per 10 000[2]. Det finns två antifibrotiska läkemedel på marknaden idag. Dessa läkemedel kan minska försämringen av lungfunktionen med cirka 50 procent, men de är också förknippade med biverkningar, vilket gör att en stor del av patienterna väljer bort eller inte fullföljer sin behandling. Det uppskattas att så många som 43 % av patienterna i USA avbryter behandlingen[3]. Även om en stor del av patienterna är obehandlade idag, uppskattas att försäljningen för de båda läkemedlen uppgick till 4,2 Mdr USD under 2022[4]. Den ytterligare årliga marknadspotentialen (obehandlade patienter) uppskattas till 2,8 Mdr USD[5]. Med en växande patientpopulation och begränsade behandlingsalternativ finns det utrymme för innovativa och sjukdomsmodifierande behandlingar.

**Om fas 2a -studien i IPF (AIR)**

Huvudsyftet med denna terapeutiska explorativa studie är att undersöka säkerheten och effekten av C21 hos behandlingsnaiva patienter med IPF. Studien är en öppen studie där C21 ges oralt två gånger dagligen som monoterapi i 24 veckor med möjlighet att fortsätta behandlingen i ytterligare 12 veckor. Patienter med IPF har en väl karakteriserad försämring av lungfunktionen. Effekten av C21 på lungfunktionen undersöks genom mätning av förändring av FVC från baslinjen. Studien genomförs på ett flertal center med regulatoriska godkännanden i Storbritannien, Indien, Ukraina och Ryssland. Studien är pausad i Ukraina och Ryssland på grund av den pågående konflikten.

**Om renin-angiotensin systemet (RAS) och angiotensin II typ 2-receptor (AT2-receptorn)**

RAS är ett hormonsystem som reglerar flera viktiga fysiologiska funktioner. I detta system är AT1-receptorn ett väletablerat målprotein för läkemedel, där t.ex. angiotensinreceptorblockerare (ARBs) mot högt blodtryck är storsäljare. AT2-receptorns funktion är mindre etablerad och svårare att studera, men med den ökade kunskapen Vicore får genom kliniska prövningar med läkemedelskandidaten C21, blir de terapeutiska möjligheterna med AT2-receptorn uppenbara. AT2R är en del av kroppens system för att skydda mot och reparera vävnadsskada och förmodas vara skyddande i ett flertal sjukdomar kopplade till hög ålder och cellernas åldrande, inklusive idiopatisk lungfibros, kronisk njursjukdom, hjärtsvikt och kognitiva störningar. Att stimulera AT2R har visat sig vara effektivt i ett stort antal olika sjukdomsmodeller och den kliniska valideringen pågår vid kronisk lungsjukdom. Stimulering av AT2R kan även vidga små artärer för att lokalt öka blodflödet, utan att sänka blodtrycket. Vicore utvecklar C21 för svåra ovanliga lungsjukdomar och har ett antal nya ATRAGs under utveckling för nya indikationer varav den första (C106) genomgår en klinisk fas 1-studie

Informationen lämnades för offentliggörande den 19 maj 2023 kl 17:30 CET.

### **Om Vicore Pharma Holding AB**

Vicore är ett läkemedelsbolag i klinisk fas med fokus på att utveckla en ny klass av läkemedel för att stoppa sjukdomsprogression och återställa funktion. Bolaget utvecklar en läkemedelsportfölj inom ovanliga lungsjukdomar, inkluderande idiopatisk lungfibros (IPF) och pulmonell arteriell hypertension (PAH). C21, för närvarande i en fas 2a-studie på IPF, är en oral, småmolekylär, angiotensin II typ 2-receptor agonist (ATRAG) och först i sin klass av läkemedel. C21 har sär läkemedelsstatus i USA och Europa och ett antal patentansökningar har lämnats in för ytterligare skydd av C21 fram till 2040 och framåt. Almee™ (en medicinteknisk produkt under klinisk utveckling) är en digital terapi (DTx) baserad på kognitiv beteendeterapi (KBT) utvecklad för att adressera den psykologiska påverkan patienter med lungfibros upplever. Inhalerad IMiD bygger på ett nytt administrationssätt för talidomid och fokuserar på den svåra hosta som är förknippad med IPF. Med vår unika expertis inom ATRAG-biologin, utökar vi på vår pipeline med nya läkemedelskandidater för en bredare användning vid olika sjukdomar, varav vissa kan utvecklas tillsammans med en partner och vissa tas till marknaden av Vicore.

Bolagets aktie (VICO) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information se [www.vicorepharma.com](http://www.vicorepharma.com)

[1] NCT04533022

[2] Maher et al. Global incidence and prevalence of idiopathic pulmonary fibrosis. Respiratory research 22, 197 (2021).

[3] Dempsey et al. Adoption of the Antifibrotic Medications Pirfenidone and Nintedanib for Patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis. Ann Am Thorac Soc. 18, 7 (2021)

[4] Evaluate Pharma; Company reports, Roche and Boehringer Ingelheim.

[5] Beräknad baserat på ~40 % av IPF-patienter som för närvarande inte behandlas

### **Bifogade filer**

[Vicore meddelar nya 36-veckorsresultat från AIR-studien som visar fortsatt sjukdomsstabilisering och ökad lungfunktion hos IPF-patienter](#)