

Cereno Scientific rapporterar analyser från EAP med CS1 i PAH: Majoriteten av patienterna som fullföljde behandlingen bibehöll eller förbättrade sin kliniska status under 12 månader

Cereno Scientific (Nasdaq First North: CRNO B), ett biotechbolag banbrytande inom behandlingar som förbättrar och förlänger livet för människor med sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar, rapporterar idag ytterligare analyser från det 12 månader långa Expanded Access Program (EAP) med den ledande läkemedelskandidaten CS1 i pulmonell arteriell hypertension (PAH). Under 12 månader bibehöll eller förbättrade majoriteten av de patienter som fullföljde behandlingen sin funktionella status och sina biomarkörvärden i en progressiv sjukdom, samtidigt som CS1 visade en fortsatt gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil. Dessa observationer stödjer CS1:s potential som en väl tolererad behandling med sjukdomsmodifierande effekter och stärker tilltron inför den planerade globala Fas IIb-studien som startar i juni 2026.

EAP genomfördes enligt ett FDA-godkänt protokoll och initierades på begäran av patienter och behandlande läkare för att möjliggöra fortsatt behandling med CS1 efter Fas IIa-studien. Programmet inkluderade tio patienter som hade slutfört den studien. Programmets primära mål var att utvärdera långsiktig säkerhet och tolerabilitet, och målet uppnåddes utan oväntade säkerhetsrelaterade observationer och utan rapporterade dödsfall.

Av de tio inkluderade patienterna fullföljde sex patienter 12 månaders behandling. Fyra patienter fullföljde inte hela behandlingsperioden, och inget av dessa avbrott berodde på orsaker relaterade till CS1. Två patienter avbröt behandling med CS1 efter att ha utvecklat förmaksflimmer och därefter ordinerats antikoagulationsbehandling av sina behandlande läkare. Eftersom behandling med antikoagulantia var ett exklusionskriterium enligt EAP-protokollet behövde dessa patienter avbryta behandling med CS1. Förmaksflimmer är ett känt tillstånd vid PAH, särskilt i senare stadier av sjukdomen, och bedömdes inte vara relaterat till CS1. En patient återkallade sitt samtycke och en patient kunde inte följas upp. Viktigt är att inga behandlingsavbrott bedömdes vara relaterade till CS1.

Kliniska observationer under 12 månader

Patienterna överfördes inte direkt från Fas IIa-studien till EAP, vilket ursprungligen var planerat. Intervallet mellan slutförandet av Fas IIa och start av behandling i EAP varierade från sex till 25 månader. Under denna period genomgick patienterna förändringar i sin standardbehandling för PAH, och CS1 gavs huvudsakligen som tillägg till stabil bakgrundsbehandling. Resultaten presenteras som kliniska observationer från verklig användning hos enskilda patienter, inte som kontrollerade effektresultat.

Bland de sex patienter som fullföljde 12 månaders behandling:

- Fem av sex hade stabil (4) eller förbättrad (1) NYHA/WHO-funktionsklass
- Fem av sex hade stabila (1) eller förbättrade (4) NT-proBNP-nivåer
- Tre av sex förbättrade sin sexminuters gångsträcka
- Tre av sex hade stabil (1) eller förbättrad (2) REVEAL Risk Score 2.0
- Tre av fem utvärderbara patienter hade stabilt (2) eller reducerat (1) genomsnittligt lungartärtryck, uppmätt med CardioMEMS

I en sjukdom såsom PAH, där patienter vanligtvis försämras över tid trots tillgänglig behandling, anses bibehållen eller förbättrad klinisk status över dessa mått under ett års behandling vara stödjande och kliniskt relevant. Observationerna är även i linje med den profil som sågs i Fas IIa-studien.

EAP visade även att CS1 kunde administreras tillsammans med nu godkända PAH-behandlingar, inklusive samtidig behandling med sotatercept. Detta stödjer möjligheten att utvärdera CS1 som tilläggsbehandling i en modern PAH-behandlingsmiljö och är direkt relevant för utformningen av Fas IIb-studien.

”Det som är särskilt betydelsefullt för mig är att dessa ytterligare analyser ger viktig långsiktig klinisk kontext för CS1 i PAH. EAP stärker vidare den gynnsamma säkerhets- och tolerabilitetsprofil som observerades i Fas IIa-studien och visar att patienter som fullföljde 12 månaders behandling generellt var stabila eller förbättrades avseende flera kliniskt relevanta mått. Även om slutsatser avseende effekt inte kan dras från denna lilla, okontrollerade studie, är bibehållen klinisk stabilitet över tid i en progressiv och livshotande sjukdom såsom PAH särskilt lovande. Dessa fynd ger värdefullt momentum och stödjer vår fortsatta övertygelse om potentialen för CS1 när vi tar programmet vidare in i den planerade Fas IIb-studien,” säger Rahul Agrawal, CMO och Head of R&D på Cereno Scientific.

Relevans för CS1:s sjukdomsmodifierande mekanism

CS1 är en HDAC-hämmare som verkar som en epigenetisk modulator och utvecklas som en potentiellt sjukdomsmodifierande behandling som adresserar de underliggande sjukdomsmekanismerna vid PAH, inklusive sjukliga kärlförändringar i lunga, fibros och inflammation.

PAH är en progressiv sjukdom där patienter försämras över tid trots tillgänglig behandling. I detta sammanhang är bibehållen eller förbättrad klinisk status i observationer från verklig klinisk användning under 12 månaders behandling kliniskt relevant, särskilt när detta ses tillsammans med en gynnsam långsiktig säkerhets- och tolerabilitetsprofil samt i kombination med andra standardbehandlingar. Detta är förenligt med en klinisk signal som kan förväntas av en sjukdomsmodifierande behandling. Fynden från EAP stödjer denna profil och är i linje med observationerna i den tidigare Fas IIa-studien.

"Jag har observerat patienter fortsätta behandling med CS1 under en längre period i en klinisk miljö som speglar verklig användning inom EAP. Min erfarenhet är att CS1 har tolererats väl, även när det använts tillsammans med bakgrundsbehandlingar för PAH. För patienter med PAH, där långsiktig sjukdomshantering är avgörande, är dessa observationer uppmuntrande och stödjer vidare utvärdering av CS1 som ett potentiellt nytt behandlingsalternativ," säger Dr. Jason Guichard, Prisma Health-Upstate, prövare i EAP och Fas IIa-studien av CS1 i PAH.

Begränsningar

EAP var en öppen studie utan kontrollgrupp, inkluderade ett litet antal patienter och var inte utformat eller dimensionerat för att visa effekt; inga slutsatser avseende effekt kan därför dras. Eftersom patienterna inte överfördes direkt från Fas IIa-studien till EAP, och eftersom förändringar i bakgrundsbehandling gjordes under tiden, presenteras data som observationer från verklig klinisk användning snarare än som kontrollerade effektresultat. Den explorativa bilddiagnostiska delstudien med Fluidas teknologi inkluderade endast tre patienter; inga konsekventa bilddiagnostiska resultat observerades och inga slutsatser kan dras.

Fas IIb-studien

"EAP har levererat det programmet var utformat för att ge: viktiga långsiktiga data om säkerhet och tolerabilitet, tillsammans med ytterligare kliniska observationer från verklig användning som stärker vår förståelse av CS1 i PAH. Jag är glad att se att dessa fynd bygger vidare på de lovande resultaten från Fas IIa och stärker potentialen för CS1 som en oral, en gång dagligen administrerad, sjukdomsmodifierande behandling. Vi går in i nästa utvecklingsfas med starkt tilltro när vi förbereder oss för att initiera den globala Fas IIb-studien i juni 2026," säger Sten R. Sörensen, vd för Cereno Scientific.

Den planerade globala, placebokontrollerade Fas IIb-studien kommer att inkludera cirka 126 patienter vid cirka 65 kliniska prövningscenter i 10–12 länder i Nordamerika, Europa och Sydamerika. Studien, som har utvecklats i dialog med FDA, kommer att utvärdera säkerhet, tolerabilitet och effekt av CS1 som tillägg till standardbehandling, samt identifiera optimal dos inför Fas III.

För att hjälpa investerare att bättre förstå vad EAP-resultaten så har vi också publicerat en förklarande artikel på vår webbplats: <https://www.cerenoscientific.com/sv/nyhetsrum/stories>.

För mer information, vänligen kontakta:

Tove Bergenholt, Head of IR & Communications
E-post: tove.bergenholt@cerenoscientific.com
Telefon: +46 73- 236 62 46

Om CS1

CS1 är Cereno Scientifics ledande läkemedelskandidat, en HDAC-hämmare som verkar genom epigenetisk modulering med ett nytt terapeutiskt angreppssätt riktat mot underliggande sjukdomsdrivande mekanismer vid pulmonell arteriell hypertension (PAH), inklusive sjukliga kärlförändringar, fibros och inflammation. I en slutförd Fas IIa-studie uppvisade CS1 en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil tillsammans med effektsignaler som tyder på förbättringar i högerhjärtfunktion, funktionsklass och patienters livskvalitet. Data visade även tidiga tecken förenliga med tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar, ett fynd som stödjer CS1:s potential att påverka underliggande sjukdomsmekanismer vid PAH. Långtidsuppföljningsdata från det slutförda 12-månaders Expanded Access Program (EAP) bekräftade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil över upp till 15 månaders behandlingserfarenhet, i linje med observationerna i Fas IIa-studien, och visade att en majoritet av de patienter som fullföljde behandlingen bibehöll eller förbättrade sin kliniska status. CS1 utvecklas som en oral, en gång dagligen, potentiellt sjukdomsmodifierande behandling för PAH. CS1 har erhållit sär-läkemedelsstatus, Orphan Drug Designation, av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA och Europeiska kommissionen för behandling av PAH, samt Fast Track-status av FDA.

Om Cereno Scientific AB

Cereno Scientific är banbrytande inom behandlingar som förbättrar och förlänger livet. Bolagets innovativa pipeline består av sjukdomsmodifierande läkemedelskandidater som hjälper människor som lider av sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar att leva sina liv fullt ut.

Den ledande läkemedelskandidaten CS1 är en HDAC-hämmare som verkar genom epigenetisk modulering och representerar ett nytt terapeutiskt angreppssätt genom att rikta in sig på de grundläggande mekanismerna i sällsynta sjukdomen pulmonell arteriell hypertension (PAH). CS1 är en väl tolererad oral behandling med en gynnsam säkerhetsprofil som i en Fas IIa-studie på patienter med PAH har visat lovande effektsignaler, inklusive förbättrad högerhjärtkammarfunktion, funktionsklass och livskvalitet, med tidiga tecken i linje med tillbakabildning av kärlförändringar (eng. reverse vascular remodeling). Ett Expanded Access Program bekräftade att CS1 är väl tolererad med en gynnsam säkerhetsprofil under 12 månaders behandling och visade att en majoritet av de patienter som fullföljde behandlingen bibehöll eller förbättrade sin kliniska status. CS014, en ny kemisk substans och HDAC-hämmare som verkar genom en mångfaldig verkningsmekanism som en epigenetisk modulator med potential att adressera den underliggande patofysiologin hos ett flertal kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar med stora behov. CS014 uppvisade gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil i en fas I-studie, utvecklingsfokus för fas II är pulmonell hypertension associerad med interstitiell lungsjukdom (PH-ILD). Cereno Scientific driver även det prekliniska programmet CS585 framåt, en oral, mycket potent och selektiv prostacyclin (IP)-receptoragonist som har visat förmåga att förebygga trombos utan ökad blödningsrisk och som för närvarande utvärderas vid antifosfolipidsyndrom (APS).

Bolaget har huvudkontor i GoCo Health Innovation City i Göteborg, Sverige, och har ett amerikanskt dotterbolag; Cereno Scientific Inc. med kontor på Kendall Square i Boston, Massachusetts, USA. Cereno Scientific är noterat på Nasdaq First North Growth Market (CRNO B). Bolagets Certified Adviser är DNB Carnegie Investment Bank AB, certifiedadviser@carnegie.se. Mer information finns på www.cerenoscientific.se.