

## Oncopeptides presenterar de första interimresultaten från den pågående kombinationsstudien ANCHOR med melflufen vid det amerikanska hematologimötet

Stockholm – 1 december 2018 – Oncopeptides AB (publ) (Nasdaq Stockholm: ONCO) presenterar idag de första interimresultaten från den pågående fas I/II studien ANCHOR med melflufen (Ygalo®) vid det 60:e ASH-mötet i San Diego, Kalifornien, USA.

### Sammanfattande slutsatser

*o Kombinationen av melflufen och dexametason (steroid) tillsammans med antingen bortezomib eller daratumumab tolereras väl i patienter med Relapserande Refraktärt Multipelt Myelom (RRMM)*

*o Ingen dosbegränsande toxicitet har observerats i någon av grupperna som har fått dosen 30 respektive 40 mg melflufen. I dosgruppen 40 mg pågår patientrekryteringen fortsatt.*

*o En total responsfrekvens (ORR) på 86% observerades med melflufen och dexametason i kombination med daratumumab (monoklonal antikropp som binder till CD38)*

*o En total responsfrekvens (ORR) på 100% observerades med melflufen och dexametason i kombination med bortezomib (proteasomhämmare)*

**Dessa data är presenterade i posterformat och finns på:** [www.oncopeptides.com / presentations / 60th ASH](http://www.oncopeptides.com/presentations/60thASH)

### VD kommenterar

"Det här är tidiga data från ett fåtal patienter men det är ändå väldigt lovande att melflufen tolereras väl och har en mycket hög aktivitet utan tecken på korsresistens i dessa kombinationsbehandlingar. De här patienterna har genomgått 2 till 3 tidigare behandlingslinjer och har utvecklat resistent sjukdom. Våra interimdata visar ändå en utmärkt effektprofil för melflufen i kombination med antingen bortezomib eller daratumumab. Jämfört med resultaten från andra studier med RRMM-patienter som genomgått kombinationsbehandlingar står sig våra data med en ORR i intervallet 86-100% mycket bra. Behandlingslandskapet förändras över tiden och det finns ett stort behov av nya behandlingsalternativ med en ny verkningsmekanism som melflufen", säger Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides.

### Om ANCHOR-studien

Rekryteringen till studien fortskrider. ANCHOR är en fas I / II studie där melflufen och dexametason (steroid) doseras i kombination med antingen bortezomib eller daratumumab. Alla patienter måste ha genomgått 1 till 4 tidigare behandlingslinjer och vara resistent mot ett immunmodulerande läkemedel (IMiD) eller en proteasomhämmare (PI) eller båda.

I kombination med bortezomib (Regim A) kan patienterna inte vara resistent mot en PI och i kombination med daratumumab (Regim B) får patienterna inte ha exponerats mot någon anti-CD38 tidigare. Patienterna kommer att behandlas tills dokumenterad sjukdomsprogression eller oacceptabel toxicitet föreligger. Det primära syftet med fas I-delen av studien är att bestämma den optimala dosen av melflufen och dex, upp till högst 40 mg, i kombination med bortezomib eller daratumumab. Ytterligare 20 patienter per behandling kommer att rekryteras i fas II delen av studien där det primära målet är att visa Overall Response Rate (ORR).

## Sammanfattning interimdata för ANCHOR

### Melflufen i kombination med bortezomib - Regim A

Den 12 november 2018, vid tidpunkten för datainsamling för interimanalysen, hade 3 patienter behandlats med 30 mg melflufen plus steroid i kombination med bortezomib. Medianåldern var 81 år med en median av 3 tidigare behandlingslinjer. Alla patienter var relapserande och resistenta och 2 av 3 patienter var resistenta mot sista linjens behandling (sjukdomsprogression under behandling). Samtliga patienter var fortsatt under behandling vid tidpunkt för datainsamling den 12 november med en behandlingsmedian på 5,8 månader.

Patienterna hade erhållit totalt 17 behandlingscykler med en median av 7. Samtliga 3 patienter uppnådde s.k. Partial Respons (PR). Ingen dosbegränsande toxicitet observerades vid dosering med 30 mg melflufen. Studiedelen med 40 mg melflufen är nu öppen för inkludering av patienter. Behandlingen tolererades väl med kliniskt hanterbara G3 / 4 hematologiska biverkningar och det låga antalet icke-hematologiska biverkningar är värt att notera.

### Melflufen i kombination med daratumumab - Regim B

Den 12 november 2018, vid tidpunkten för datainsamling för interimanalysen, hade 9 patienter behandlats med melflufen plus steroid i kombination med daratumumab. Medianåldern var 63 år med en median av 2 tidigare behandlingslinjer. Ingen patient har uppnått komplett svar (CR) i någon tidigare behandlingslinje, 67% var resistenta mot IMiD:er och 56% var resistenta mot sista linjens behandling (sjukdomsprogression under behandling). Samtliga patienter var fortsatt under behandling vid tidpunkt för datainsamling den 12 november. För samtliga 9 patienter pågick behandling med en behandlingsmedian på 3,9 månader. Patienterna hade totalt erhållit 39 behandlingscykler med en median av 4.

Overall response rate								N/A*
	ORR	CR	VGPR	PR	MR	SD	PD	
total, N=9	86%	0	4	2	0	1	0	2

\*2 av de 9 patienterna var fortfarande i behandlingscykel ett och därför inte utvärderingsbara vid tidpunkten för datainhämtning.

4 patienter behandlades med 30 mg melflufen och 5 patienter behandlades med 40 mg melflufen utan att dosbegränsande toxicitet observerades. Kombinationen av melflufen plus steroid och daratumumab tolererades väl med kliniskt hanterbara G3 / 4 hematologiska biverkningar och det låga antalet icke-hematologiska biverkningar är värt att notera.

## Om melflufen

Melflufen (Ygalo®), är en peptidlänkad alkylerare tillhörande en ny klass av peptidaspotentierade läkemedel, inriktar sig på myelomceller med en unik verkningsmekanism. Aminopeptidaser är enzymer som finns i alla celler, men som är överuttryckta i flera cancerformer inklusive multipelt myelom (MM). Melflufen har en selektiv effekt på myelomceller genom aminopeptidas-driven ackumulering. In vitro-experiment visar en 50-faldig anrikning av den verksamma substansen i myelomceller jämfört med administrering av samma mängd av alkylerare som inte anrikas av aminopeptidaser. Anrikningen resulterar i selektiv cytotoxicitet (ökad effekt på tumörceller och mindre toxisk påverkan på andra celler) och att resistensmekanismer för andra myelombehandlingar (inklusive alkylerare) övervinns. Melflufen har även starka antiangiogena egenskaper.

## Melflufen i klinisk utveckling

Melflufen (Ygalo®) har utvärderats vid behandling av RRM patienter i sen fas, både I fas I och II studier (O-12-M1) med positiva resultat. För närvarande utvärderas melflufen i fyra kliniska studier för behandling av multipelt myelom. De pågående studierna är OCEAN, HORIZON, ANCHOR och BRIDGE.

Det nuvarande kliniska studieprogrammet syftar till att visa bättre resultat från behandling med melflufen jämfört med etablerade alternativa läkemedel för patienter med multipel myelom. Melflufen kan potentiellt ge läkare ett nytt behandlingsalternativ för patienter som lider av denna allvarliga sjukdom.

Melflufen har studerats vid behandling av patienter med Relapserad - Refraktär Multipelt Myelom (RRMM) i sen fas. Detta genomfördes i den kliniska studien kallad O-12-M1 där starka finala resultat avrapporterades i december 2017. Idag pågår fyra kliniska studier med melflufen.

OCEAN är Oncopeptides registreringsgrundande fas III-studie där melflufen jämförs direkt med dagens standardbehandling pomalidomid för patienter med RRMM i sen fas.

HORIZON är en fas II-studie som studerar effekten av melflufen i RRMM patienter i sen fas med få eller inga återstående etablerade behandlingsalternativ. Uppdaterade interimdata från denna studie kommer att presenteras vid ASH i december 2018.

ANCHOR är en fas I/II-studie där melflufen doseras i kombination med, antingen bortezomib + dexametason eller daratumumab + dexametason i RMM eller RRMM patienter. Resultaten från studien syftar till att skapa förståelse och kunskap bland behandlande läkare för hur melflufen kan användas i kombination med dessa läkemedel. Detta kan även öppna upp för melflufen i tidigare linjers behandling.

BRIDGE är den fas II studie där melflufen skall utvärderas hos RRMM-patienter, som lider av nedsatt njurfunktion vilket är en vanlig komplikation hos MM-patienter. Detta är en positioneringsstudie för att visa melflufens behandlingsprofil i dessa patienter.

### **Om Oncopeptides**

Oncopeptides är ett läkemedelsföretag som utvecklar läkemedel för behandling av cancer. Bolaget fokuserar på utvecklingen av produktkandidaten melflufen (Ygalo®), en peptidlänkad alkylator, tillhörande en ny läkemedelsklass kallad Peptidase Enhanced Compounds. Melflufen är avsedd för en effektiv behandling av hematologiska cancersjukdomar, och då särskilt multipelt myelom. Målet med det kliniska utvecklingsprogrammet för melflufen är att visa bättre behandlingsresultat jämfört med etablerade alternativ vid behandling av patienter med multipelt myelom. Melflufen kan potentiellt ge behandlande läkare ett nytt läkemedel för patienter med denna svårbehandlade cancersjukdom.

Mer information finns på [www.oncopeptides.com](http://www.oncopeptides.com).

### **För mer information, kontakta:**

Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides

E-post: [jakob.lindberg@oncopeptides.com](mailto:jakob.lindberg@oncopeptides.com)

Telefon: +46 8 615 20 40

Rein Piir, Head of Investor Relations för Oncopeptides

E-post: [rein.piir@oncopeptides.com](mailto:rein.piir@oncopeptides.com)

Mobil: +46 70 853 72 92

Denna information är sådan information som Oncopeptides är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 1 december 2018 klockan 18.15 CET.