



## PRESSMEDDELANDE

Publicerad: 21-04-2020

# Asarina Pharma meddelar topline-resultat för fas IIb PMDS-studie

(Stockholm den 21 april, 2020) **Asarina Pharma (publ) meddelar idag topline-resultat från bolagets fas IIb-studie med Sepranolon i PMDS (premenstruellt dysforiskt syndrom). Studien visade en positiv säkerhets- och tolerabilitetsprofil för Sepranolon. En betydande reduktion av PMDS symtom kunde påvisas för hela patientpopulationen, men en statistiskt signifikant skillnad mot placebo kunde inte påvisas för studiens primära eller sekundära utfallsmått, på grund av en oväntat hög placeboeffekt. Asarina Pharma fortsätter bolagets fullt finansierade utvecklingsprogram för Sepranolon i menstruell migrän och Tourettes syndrom, där sjukdomsmekanismerna är annorlunda och de kliniska utfallsmåtten mer objektiva och robusta.**

”Vi hade naturligtvis hoppats på ett annat resultat.”, säger Peter Nordkild, vd för Asarina Pharma. ”Till alla kvinnor som lever med PMDS vill jag uttrycka min besvikelse över studieresultatet. Inom Asarina Pharma är vi djupt medvetna om det enorma behovet av en effektiv behandling mot PMDS, liksom sjukdomens mycket komplexa symptombild. Vi hoppas att vår forskning kring allopregnanolon kommer att spela en roll i den ökande förståelsen av PMDS och att studien har varit värdefull för att öka medvetenheten om och uppmärksamheten kring detta svåra tillstånd.”

Asarina Pharmas medicinska chef, Märta Segerdahl: ”Det är betryggande att se att Sepranolon fortsatt visat sig vara säkert och väl tolererat. Nivåerna av allopregnanolon är förhöjda i hjärnan både vid menstruell migrän och Tourettes syndrom, och Sepranolon är en kroppsegen substans som hämmar effekten av allopregnanolon. Vi är fortsatt optimistiska att Sepranolon kan utvecklas som en effektiv behandling för Tourettes syndrom och menstruell migrän.”

### Om studien

Fas IIb-studien var en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad studie som genomförts vid 14 studiecentra i Sverige, Storbritannien, Polen och Tyskland. Den inkluderade 206 patienter med en genomsnittlig ålder av 33 år som randomiserades efter avslutad screening. 547 menstruationscykler har utvärderats, genomsnittlig menstruationscykellängd i baslinjecyklerna var 28,1 dagar med 90 procent av cyklerna med mindre än  $\pm 2$  dagars skillnad i cykellängd. Patienterna tog sina 0,4 ml injektioner med en förfylld engångsspruta. Patienterna fick en av två dosnivåer, 10 eller 16 mg per dos. Behandlingen påbörjades 14 dagar före uppskattad start av nästa menstruation, och därefter varannan dag under lutealfasen fram till menstruationens början, dock högst 7 doser per cykel. Patienterna fyllde i ett formulär dagligen med en skattning av

svårighetsgraden av sina problem, DRSP (daily rating of severity of problems), av 11 PMDS-symptom.

Studiens primära utfallsmått beräknades utifrån den totala symptompoängen för sen lutealfas (LmaxSum21), som skillnaden mellan medelvärdena för två baslinjecykler och medelvärdet i behandlingscyklerna. Skillnaden i poäng jämfördes mellan aktivt behandlade och placebobehandlade patienter. Före behandling var den genomsnittliga poängen 85 poäng, vilket motsvarar måttliga till svåra PMDS-symtom. Studiebehandling minskade symptomen med 27,9 poäng i placebogruppen, jämfört med 30,3 i Sepranolon-gruppen, vilket resulterade i minimala till milda PMDS-symtom under behandlingen. Det uttalade placebo-svaret kan bero på att vissa studiepatienter fått mer positiv uppmärksamhet för sin sjukdom än dom fått under många år tidigare.

Sammantaget togs mer än 2 000 doser Sepranolon under studien. En av fem patienter rapporterade obehag på injektionsstället, ingen rapporterade allvarliga obehag. Sammantaget visar studiedata att Sepranolon tolererades väl utan några observerade säkerhetsfynd.

Sammanfattningsvis uppfyllde Asarina Pharmas fas IIb PMDS-studie inte de primära eller sekundära utfallsmåtten. Emellertid visade Sepranolongruppen en numerisk förbättring av alla symtom jämfört med placebo, även om dessa skillnader inte nådde statistisk signifikans.

#### ASARINA PHARMAS FORTSATTA UTVECKLING

Asarina Pharma fortsätter den fullt finansierade utvecklingen genom fas II av Sepranolon inom indikationerna menstruell migrän och Tourettes syndrom. Studien i menstruell migrän har hittills inkluderat 80% av den planerade studiepopulationen. Trots de restriktioner som för närvarande råder på grund av Covid-19 ser vi positivt på att kunna presentera initiala resultat som planerat under våren 2021.

En webcast med möjlighet att ställa frågor kommer att hållas kl. 9.30 den 22 april:

<https://streamfabriken.com/2020-04-22-asarina-pharma-press-conference>

#### **För ytterligare information, vänligen kontakta:**

Peter Nordkild, vd, Asarina Pharma AB

Tel: +45 25 47 16 46

E-mail: [peter.nordkild@asarinapharma.com](mailto:peter.nordkild@asarinapharma.com)

Certified Adviser

Erik Penser Bank AB

Tel: +46 8-463 83 00

Mail: [certifiedadviser@penser.se](mailto:certifiedadviser@penser.se)

*Denna information är sådan som Asarina Pharma är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 21 april 2020 kl.1930*

### **Om Sepranolon**

Sepranolon (ISOALLO) är en aktiv steroid i centrala nervsystemet och en endogen substans som förekommer naturligt i hjärnan, speciellt under stress. Den hämmar effekterna av Allopregnanolon (ALLO). Efter ägglossning bildas progesteron av corpus luteum för att förbereda livmodern för en graviditet. Då produceras ALLO som är en progesteronmetabolit som förbättrar GABA<sub>A</sub>-systemet i olika regioner i hjärnan. För kvinnor med en ökad känslighet för ALLO resulterar detta i negativa humörsymptom på PMDS. ALLO produceras också som en del av en stressreaktion både i hjärnan och i binjurebarken. Sepranolon (ISOALLO) är den icke-hormonellt aktiva steroid som produceras i hjärnan och hämmar ALLO:s verkan, så att symptomen på PMDS uppstår. Sepranolon är mycket specifikt och hämmar endast effekten av GABAs steroidverkan på receptorn, men påverkar inte effekterna av andra aktiva GABA<sub>A</sub>-receptorämnen. Effekten har visats i djurmodeller av PMDS och i en klinisk farmakodynamisk modell som utvärderade hur en ny familj av föreningar påverkar GABA-mekanismerna i hjärnan. Dessa föreningar kallas GAMSAs - GABA<sub>A</sub>-modulerande steroidantagonister. Sepranolon är en GAMSAs. Sepranolon är den första behandling som specifikt utvecklats för att behandla PMDS.

### **Om PMDS**

Premenstruell dysforisk störning (PMDS) är ett allvarligt neuroendokrinologiskt tillstånd som drabbar 4–8 procent av kvinnor i fertil ålder över hela världen. Tillståndet är ofta mycket socialt nedsatt med cykliska, ofta personlighetsförändrande symptom som bygger sig upp i lutealfasen (de två veckorna före menstruation), toppar veckan direkt före menstruation och sedan snabbt går tillbaka när menstruationen börjar. Emotionella symptom inkluderar extrema humörförändringar, svår irritabilitet och / eller ilska, depression, ångest och känslor av hopplöshet och lågt självvärde. I maj 2019 fick PMDS sin egen klassificeringskod, GA34.41, som en gynekologisk sjukdom i WHO:s internationella klassificering av sjukdomar, ICD-11.

### **Om Asarina Pharma**

Asarina Pharma är ett svenskt bioteknikföretag som utvecklar Sepranolon för allopregnanolonrelaterade stress- och menstruationsrelaterade neurologiska tillstånd. Vår projektportfölj bygger på över 40 års forskning om allopregnanolonrelaterade neurologiska sjukdomar. Med vår nya familj av GAMSAs-föreningar (GABA<sub>A</sub>-modulerande steroidantagonister) strävar vi efter att leverera en ny generation av effektiva och säkra läkemedel för neuroendokrinologiska sjukdomar som fortfarande inte har någon behandling.