

**CHMP rekommenderar att Oncopeptides Pepaxti får ett fullt godkännande i EU för patienter med trippelklassrefraktärt multipelt myelom**

STOCKHOLM — 23 juni 2022 — Oncopeptides AB (publ) (Nasdaq Stockholm: ONCO), ett biotechbolag inriktat på att utveckla läkemedel mot svårbehandlade hematologiska sjukdomar, meddelar idag att den europeiska läkemedelsmyndigheten EMAs kommitté för humanläkemedel, CHMP, enhälligt antagit en rekommendation att ge Pepaxti<sup>®</sup> (melphalan flufenamide, också benämnt melflufen) ett fullt marknadsgodkännande i EU. Den Europeiska kommissionen kommer att fatta ett juridiskt bindande beslut baserat på EMAs rekommendation inom 60 dagar. När kommissionen fattat sitt beslut, kommer marknadsgodkännandet vara giltigt i alla EU-länder, samt för länder inom det europeiska ekonomiska samarbetsområdet inklusive Island, Lichtenstein och Norge.

CHMPs rekommendation baseras på data från fas 2-studien HORIZON och stöds av data från den randomiserade, kontrollerade fas-3 studien OCEAN, som användes som bekräftande studie. Inga åtaganden om uppföljande studier är villkorade i marknadsgodkännandet. Oncopeptides avser att under Q4 lämna in en ansökan till EMA för att möjliggöra för patienter med relapserande refraktärt multipelt myelom (RRMM) att få tillgång till läkemedlet i tidigare behandlingslinjer.

Pepaxti är indicerat i kombination med dexametason, för behandling av vuxna patienter med multipelt myelom som har fått åtminstone tre tidigare behandlingslinjer och vars sjukdom är resistent mot minst en proteasomhämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38 och vars sjukdom har progredierat under eller efter den senaste behandlingen. För patienter med en tidigare autolog stamcellstransplantation (ASCT), ska tiden till progression efter transplantation vara åtminstone tre år.

”Pepaxti hjälper patienter med multipelt myelom, en obotlig form av blodcancer. Dagens rekommendation från CHMP bekräftar att Pepaxti gör nytta för dessa patienter och har en avgörande betydelse för Oncopeptides framtid och för vår forskningsportfölj,” säger Jakob Lindberg, vd för Oncopeptides. ”EMA:s vetenskapliga utvärdering har lett till att vår dialog med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA intensifierats med syfte att uppnå en tydlig väg framåt som ger patienter i USA tillgång till läkemedlet”.

**Resultat för trippelklassrefraktära patienter som genomgått minst tre tidigare behandlingslinjer, ej gjort en ASCT eller progredierat mer än 36 månader efter en ASCT i HORIZON-studien**

Respons (n=52)	HORIZON studien (bedömt enligt prövare)
Total svarsfrekvens (ORR), 95% CI (%)	28.8% (17.1%, 43.1%)
Varaktighet av respons (DOR) 95% CI (månader)	7.6 (3.0-12.3)
Tid till respons (TTR) (månader)	2.3 (1.0-10.5)

”Rekommendationen om fullt godkännande för Pepaxti i EU är verkligen goda nyheter för patienter med

trippelklassrefraktär sjukdom, där det medicinska behovet förblir stort och behandlingsmöjligheterna ofta uttömts,” säger Pieter Sonneveld, professor i Hematology vid Erasmus University Medical Center i Rotterdam, Nederländerna och huvudprövare i OCEAN-studien.

“EMAs utvärdering av Pepaxti bekräftar vår vetenskapliga slutsats att överlevnadsresultaten i OCEAN-studien är sant heterogena, vilket reflekteras i läkemedlets indikation och ligger i linje med myndighetens riktlinjer,” säger Klaas Bakker, Chief Medical Officer. ”I tillägg bekräftar EMA att det inte finns några toxikologiska signaler i de båda studierna och att det finns en positiv risk-nyttobalans i den indicerade patientpopulationen. Patienterna med störst nytta av Pepaxti har inte genomgått stamcellstransplantation och är ofta äldre, vilket sammantaget utgör den största delen av patienter med RRMM.”

Som tidigare kommunicerats, så har Oncopeptides ett lånelöfte från EIB. Oncopeptides och EIB har pågående förhandlingar för att uppdatera lånevillkoren så att de avspeglar den aktuella regulatoriska situationen. I tillägg överväger bolaget ytterligare finansieringsmöjligheter för att ta tillvara potentialen med det kommande EU-godkännandet. Det skulle kunna inkludera en nyemission och andra publika eller privata finansieringsmöjligheter.

Oncopeptides kommer att öka marknadsförberedelserna efter godkännande av Europeiska kommissionen, för att bana väg för en framgångsrik lansering av Pepaxti i Tyskland under Q4, 2022. Bolaget överväger aktivt olika möjligheter att kommersialisera läkemedlet, göra det tillgängligt för patienter i hela Europa och skapa största möjliga värde för aktieägarna.

### **Webbsändning för investerare, analytiker och media**

Investerare, finansiella analytiker och media inbjuds att delta i en webbsändning med efterföljande frågestund den 27 juni kl. 11:00 (CET). Presentationen kommer att ledas av vd Jakob Lindberg tillsammans med CMO Klaas Bakker och CFO Annika Muskantor.

Webbsändningen kommer att sändas via <https://tv.streamfabriken.com/2022-pressconference> och finns också tillgänglig via bolagets hemsida [www.oncopeptides.com](http://www.oncopeptides.com).

### **Telefonnummer för deltagare:**

SE: +46856642695

UK: +443333009270

US: +16467224902

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

Rolf Gulliksen, Global Head of Corporate Communications, Oncopeptides AB (publ)

E-post: [rolf.gulliksen@oncopeptides.com](mailto:rolf.gulliksen@oncopeptides.com)

Mobil: + 46 70 262 96 28

Informationen i pressmeddelandet är information som det åligger Oncopeptides att offentliggöra i enlighet med EU-förordningen om marknadsmissbruk. Informationen lämnades för offentliggörande genom ovanstående kontaktpersons försorg den 23 juni 2022, kl. 17:55 (CET).

### **Om Pepaxti**

Pepaxti (melfalan flufenamid, också benämnt melflufen) är ett fettlösligt peptidkonjugerat alkylerande läkemedel som snabbt och selektivt levererar cytotoxiska substanser in i cancerceller. Läkemedlet består av en dipeptid och

en alkylerande del. Fettlösligheten möjliggör ett snabbare upptag i cellerna. Peptiden hydrolyseras av aminopeptidaser, vilket ger en anrikning av den alkylerande delen inne i cancercellerna. Detta leder till en förbättrad effekt utan att toxiciteten ökar i jämförelse med melfalan. Pepaxti hämmar proliferationen och leder till celldöd vid hematologiska och solida tumörer. Läkemedlet har synergistisk cytotoxisk effekt i kombination med dexametason i melfalanresistenta och icke resistenta cellinjer.

Pepaxti är indicerat i kombination med dexametason, för behandling av vuxna patienter med multipelt myelom som har fått åtminstone tre tidigare behandlingslinjer och vars sjukdom är resistent mot minst en proteasohämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38 och vars sjukdom har progredierat under eller efter den senaste behandlingen. För patienter med en tidigare autolog stamcellstransplantation (ASCT), ska tiden till progression efter transplantation vara åtminstone tre år.

### **Om multipelt myelom**

Multipelt myelom är en cancerform som uppkommer i plasmacellerna, en typ av vita blodkroppar som producerar antikroppar för att bekämpa infektioner och som får cancerceller att ackumuleras i benmärgen. Multipelt myelom är den näst vanligaste typen av blodcancer och står för 1-2% av alla nya cancerfall, med en global incidens på 1.7 per 100 000 och en åldersstandardiserad incidens om 2.1-3.4 per 100 000 i Frankrike, Tyskland, Italien, Spanien och Storbritannien. Cirka 35 842 patienter diagnosticerades i de 27 EU-länderna under 2020 och 23 275 patienter dog av sjukdomen (ECIS 2020).

Patienter med multipelt myelom kan ha symtomfria perioder, men sjukdomen kommer alltid tillbaka och patienter kan bli resistenta till alla tillgängliga behandlingar på grund av mutationer- och/eller klonal evolution av cancercellerna. En ökande andel av patienterna är trippelklassrefraktära, och har utvecklat en sjukdom som är resistent mot en proteasohämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38. Dessa patienter har en mycket begränsad förväntad överlevnad.

### **Om Oncopeptides**

Oncopeptides är ett biotechbolag inriktat på forskning och utveckling av läkemedel för svårbehandlade hematologiska sjukdomar. Bolaget använder sin patentskyddade PDC-plattform för att utveckla peptidlänkade läkemedel som snabbt och selektivt levererar cellgifter in i cancerceller. Det första läkemedlet från PDC-plattformen, Pepaxto<sup>®</sup> (melfalan flufenamid) fick ett villkorat godkännande i USA den 26 februari 2021, i kombination med dexametason för behandling av vuxna patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom. På grund av regulatoriska utmaningar marknadsförs produkten för närvarande inte i USA. Den 23 juni 2022 rekommenderade CHMP ett fullt godkännande av Pepaxti (melphalan flufenamide) i EU i patienter med trippelklassrefraktärt multipelt myelom. Oncopeptides utvecklar flera nya läkemedelskandidater baserat på PDC-plattformen. Bolaget är noterat i Mid Cap-segmentet på Nasdaq Stockholm med förkortningen ONCO. Mer information finns tillgänglig på [www.oncopeptides.com](http://www.oncopeptides.com).