

Oncopeptides får FDA-godkännande för PEPAXTO® för patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom

STOCKHOLM – 26 februari, 2021 – Oncopeptides AB (publ) (Nasdaq Stockholm: ONCO), meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har godkänt PEPAXTO® (melfalan flufenamid, även kallad melflufen), i kombination med dexametason för behandling av vuxna patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom, som genomgått åtminstone fyra behandlingslinjer och vars sjukdom är resistent mot minst en proteasomhämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38.

Oncopeptides kommer omgående att börja marknadsföra PEPAXTO till hälso- och sjukvårdspersonal i USA och räknar med att ha produkter färdiga på distributionscentraler och apotek inom cirka två veckor. PEPAXTO är det första peptidlänkande cancerläkemedlet som godkänts av FDA. Produkten har fått ett villkorat godkännande som bygger på resultaten från fas 2-studien HORIZON i relapserande eller refraktärt multipelt myelom.

”Det villkorade godkännandet av PEPAXTO i USA är en viktig milstolpe för Oncopeptides och ett betydelsefullt steg för att uppnå vårt uppdrag, att genom innovativ forskning ingjuta hopp hos patienter med svårbehandlade hematologiska sjukdomar”, säger Marty J Duvall, Chief Executive Officer för Oncopeptides AB. “Vårt fokus framöver är att fortsätta att utveckla PEPAXTO. Under det andra kvartalet ser vi fram emot att få övergripande resultat från fas 3-studien OCEAN i relapserande refraktärt multipelt myelom. Den jämförande studien med pomalidomid har utformats för att stödja en kompletterande ansökan till FDA för att vidga indikationen”.

”När vi noterade Oncopeptides på Nasdaq Stockholm lovade vi att etablera melflufen som en attraktiv behandling för patienter vars sjukdom är resistent mot flera behandlingar. Genom godkännandet av PEPAXTO, har det äntligen blivit verklighet”, säger Jakob Lindberg, Chief Scientific Officer och tidigare vd för Oncopeptides. “Jag är oerhört stolt över det hängivna engagemang som vår organisation och våra samarbetspartners runt om i världen bidragit med och som möjliggjort den här resan”.

”Melfalan flufenamid är en ny och innovativ behandling som fungerar på resistent patienter med multipelt myelom och produkten har en hanterbar toxisk effekt”, säger Professor Ola Landgren, Chief of Myeloma Program och Leader of Experimental Therapeutics Program, Division of Hematology, Sylvester Comprehensive Cancer Center, University of Miami Health System, Miami, Florida. “Melfalan flufenamid kompletterar nuvarande behandlingar och bidrar till att möta det stora medicinska behov som patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom har”.

HORIZON-studien utvärderar intravenöst melflufen i kombination med dexametason i svårbehandlade patienter med en dålig prognos. I multicenterstudien ingick sammanlagt 157 patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom, varav 97 patienter var trippelklassrefraktära och hade genomgått minst fyra tidigare behandlingslinjer. Den totala tumörsvarefrekvensen i den här undergruppen var 23,7 % och mediantiden för behandlingssvar var 4,2 månader. Dessutom visade melflufen i kombination med dexametason effekt i en grupp av patienter med extramedullär sjukdom (41%), en aggressiv och resistent sjukdom med dålig prognos.

För ytterligare information kontakta:

Rolf Gulliksen, Global Head of Corporate Communications, Oncopeptides AB

E-post: rolf.gulliksen@oncopeptides.com

Mobil: + 46 70 262 96 28

Linda Holmström, Director Investor Relations, Oncopeptides AB

E-post: linda.holmstrom@oncopeptides.com

Mobil: + 46 70 873 40 95

Informationen i pressmeddelandet är sådan information som det åligger Oncopeptides att offentliggöra i enlighet med EU-förordningen om marknadsmissbruk. Informationen lämnades för offentliggörande genom ovanstående kontaktpersons försorg den 26 februari 2021, kl. 23:30 (CET).

Webcast för investerare, analytiker och media

Bolaget anordnar en webcast den 1 mars 2021, kl. 07:30 (CET), med Marty J Duvall CEO, Jakob Lindberg CSO, Klaas Bakker CMO och Anders Martin-Löf CFO.

Webcasten är tillgänglig via nedanstående webblänk:

https://tv.streamfabriken.com/pressconference_oncopeptides_2021

Telefonnummer deltagare:

Sverige: +46 856642651

Storbritannien: +44 3333000804

USA: +18558570686

Pinkod 51959902#

Om multipelt myelom

Multipelt myelom är en cancerform som påverkar plasmaceller, en typ av vita blodkroppar som tillverkar antikroppar för att bekämpa infektioner och innebär att cancerceller ansamlas i benmärgen. Cirka 7 av 100 000 diagnostiseras årligen med multipelt myelom i USA, vilket innebär att den klassificeras som en sällsynt sjukdom. En växande andel av dessa patienter blir trippelklassrefraktära. Det innebär att deras sjukdom utvecklat resistens mot minst en proteasomhämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38. Antalet patienter som diagnostiserats med multipelt myelom ökar och antalet fall som diagnostiseras årligen förväntas nästan fördubblas inom 20 år. Medelåldern för diagnos är 70 år och det finns för närvarande inget botemedel.

Om HORIZON-studien

Sammanlagt 157 patienter med multipelt myelom ingick i den registreringsgrundande fas 2-studien HORIZON., som utvärderar intravenöst melflufen i kombination med dexametason. Godkännandet av PEPAXTO baserades på en undergrupp av 97 patienter från HORIZON-studien vars sjukdom var resistent mot minst en proteasomhämmare, ett immunmodulerande läkemedel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38 och som genomgått åtminstone fyra tidigare behandlingslinjer. I den här undergruppen var den totala tumorsvarsfrekvensen för patienter med refraktärt multipelt myelom 23,7 % och mediantiden för behandlingssvar

4,2 månader. De vanligaste biverkningarna ($\geq 10\%$; grad 1–4) var trötthet (55%), illamående (32%), diarré (27%), feber (24%) och luftvägsinfektion (24%). De vanligaste laboratorieavvikelserna (grad 1–4) var minskning av leukocyter (99%), minskning av blodplättar (99%), minskning av lymfocyter (97%), minskning av vita blodkroppar (95%), minskning av hemoglobin (84%) och ökning av kreatinin. (68%).

Om PEPAXTO®

PEPAXTO® (melfalan flufenamid, även kallad melflufen) är det första peptidlänkande cancerläkemedlet för patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom. PEPAXTO använder en innovativ teknik som länkar en peptid till ett cellgift vilket resulterar i en fettlöslig förening. Genom sin höga fettlöslighet distribueras PEPAXTO in i cellerna. PEPAXTO är utformat för att utnyttja aminosyror, en typ av enzymer som är överuttryckta i myelomceller och orsakar en frisättning av cellgifter i myelomcellerna. PEPAXTO ges som en infusionslösning en gång i månaden, under trettio minuter.

I USA är PEPAXTO godkänt i kombination med dexametason för behandling av vuxna patienter med trippelklassrefraktärt multipelt myelom, som genomgått minst fyra tidigare behandlingslinjer och vars sjukdom är resistent mot minst en proteasomhämmare, ett immunmodulerande medel och en monoklonal antikropp riktad mot CD38. PEPAXTO® är ett registrerat varumärke i USA.

Om Oncopeptides

Oncopeptides är ett globalt biotechbolag fokuserat på utvecklingen av riktade behandlingar för svårbehandlade hematologiska sjukdomar. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har nyligen beviljat PEPAXTO (melfalan flufenamid, även kallad melflufen), villkorat godkännande i relapserande eller refraktärt multipelt myelom. PEPAXTO är det första läkemedlet baserat på bolagets patentskyddade PDC-plattform och utvärderas i ett omfattande kliniskt studieprogram, inklusive den pågående fas 3-studien OCEAN. PEPAXTO är det första peptidlänkande cancerläkemedlet för patienter med relapserande eller refraktärt multipelt myelom. Produkten använder en innovativ teknik som länkar en peptid till ett cellgift vilket resulterar i en fettlöslig förening. Den höga fettlösligheten gör att den distribueras in i cellerna. PEPAXTO är utformat för att utnyttja aminosyror, en typ av enzymer som är överuttryckta i myelomceller och som orsakar en frisättning av cellgifter i myelomcellerna. Oncopeptides globala huvudkontor ligger i Stockholm och huvudkontoret för den amerikanska verksamheten återfinns i Boston, Massachusetts. Bolaget är noterat i Mid Cap-segmentet på Nasdaq Stockholm med kortnamnet ONCO. Mer information finns tillgänglig på www.oncopeptides.com.