

Oncoceptides tillkännager att den finala tumörsvarsfrekvensen i den pivotala melflufenstudien HORIZON var 26% för trippelklassrefraktära RRMM-patienter

STOCKHOLM — 26 mars 2020 — Oncoceptides AB (Nasdaq Stockholm: ONCO) meddelar idag de övergripande slutresultaten från den pivotala fas 2-studien HORIZON, som utvärderar melflufen i patienter med relapserande och refraktärt multipelt myelom (RRMM). Resultaten kommer att ligga till grund för bolagets kommande NDA-ansökan om villkorat marknadsgodkännande i USA. Arbetet med dessa förberedelser fortgår planenligt för att lämna in ansökan till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA i slutet av andra kvartalet 2020. Oncoceptides kommer att hålla en webcast idag kl. 14:00 (CET) för en uppdatering om de finala resultaten från studien.

De finala resultaten från HORIZON-studien visar på en förbättring av tumörsvarsfrekvensen (ORR) för trippelklassrefraktära RRMM-patienter jämfört med de interimdata som presenterades vid American Society of Hematology-konferensen (ASH) i december 2019. HORIZON resultaten uppvisar en fortsatt god effekt och säkerhetsprofil i svårbehandlade RRMM-patienter för melflufen. Resultaten från HORIZON-studien stärker Oncoceptides uppfattning att melflufen kan spela en viktig roll i behandlingen av patienter med RRMM.

Resultat för primär effektparameter

Primär effektparameter	Läkarbedömning 14 januari	IRC resultat 14 januari	Inklusive okonfirmerade svar vid tidpunkten för dataavläsning*
ORR i ITT populationen (n=157)	29%	30%	31% (Läkare och IRC)
ORR i trippelklassrefraktära patienter (n=119)	26%	26%	27% (Läkare och IRC)
ORR i patienter med extramedullär sjukdom, (EMD, n=55)	24%	27%	n.a

*Två okonfirmerade svar vid dataavläsningen den 14 januari har konfirmerats senare

- Resultaten har också analyserats av en oberoende granskningskommitté (IRC)
- Säkerhetsprofilen är i linje med tidigare rapporter från HORIZON-studien med primärt hematologiska biverkningar och låg förekomst av icke-hematologiska biverkningar
- De fullständiga resultaten kommer att publiceras vid en senare tidpunkt i en expertgranskad publikation

Jakob Lindberg, VD, kommenterar:

”Presentationen av de finala resultaten från vår pivotala studie HORIZON, visar konkurrenskraftiga resultat i trippelklassrefraktära myelompatienter. Detta är den viktigaste milstolpen hittills för Oncoceptides. Dessa resultat bekräftar att melflufen har en god effekt och säkerhetsprofil i trippelklassrefraktära myelompatienter, en snabbväxande patientpopulation med ett stort medicinskt behov och brist på godkända behandlingar. Säkerhetsprofilen är konsistent med resultat från tidigare studier med melflufen vilket visar på en bra tolerabilitet med en låg grad av icke-hematologiska biverkningar. Vi är fast övertygade om att melflufen har potential att bli ett viktigt behandlingsalternativ för patienter med relapserande och refraktärt multipelt myelom. Prövningsansvariga läkare och kliniker har varit mycket hjälpsamma och med deras stöd följer vi tidsplanen för att lämna in NDA-ansökan om ett villkorat marknadsgodkännande i slutet av andra kvartalet 2020.”

”Dessa starka finala studieresultat från HORIZON validerar vår plattform för peptidlänkade läkemedel (PDC). I dagens webcast kommer vi att beskriva PDC-projekten och de möjligheterna detta ger oss” avslutar Jakob Lindberg.

Oncopeptides kommer idag kl. 14:00 (CET) att hålla en webbsändning för att presentera data och ge en övergripande klinisk uppdatering. Sändningen kan följas via denna länk:

<https://tv.streamfabriken.com/oncopeptides-press-conference>

Deltagare som vill ställa frågor kan använda följande telefonnummer:

Sverige: + 46 8 50558358

Europa: + 44 3333009269

USA: + 1 8446251570

Presentationen finns här:

[www.oncopeptides.com / Investorare / Presentationer / Presentation webcast HORIZON Topline resultat /](http://www.oncopeptides.com/Investorare/Presentationer/Presentation-webcast-HORIZON-Topline-resultat/)

För mer information kontakta:

Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides

E-post: jakob.lindberg@oncopeptides.com

Telefon: +46 8 615 20 40

Rein Piir, Head of Investor Relations på Oncopeptides

E-post: rein.piir@oncopeptides.com

Mobil: +46 70 853 72 92

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 mars 2020, kl. 09.30 (CET).

Om studien OP-106 HORIZON

I den registreringsgrundande fas 2-studien HORIZON har 157 patienter med multipelt myelom rekryterats och utvärderats. Rekryteringen till studien slutfördes i oktober 2019 och data-brytpunkten för de slutliga resultaten sattes till den 14 januari. Patienterna i studien är refraktära mot pomalidomid och/eller daratumumab efter att de har genomgått behandling med immunmodulerande läkemedel (IMiD) och proteasomhämmare (PI). HORIZONs studiepopulation inkluderar undergrupper av patienter som var trippelklassrefraktära och/eller hade relapserande metastaserat myelom (EMD) och/eller hade cytogena högriskegenskaper.

Om melflufen

Melflufen (melphalan flufenamide) är ett nytt peptidlänkat cancerläkemedel som snabbt levererar ett alkylerande cellgift till tumörceller. Melflufen tas snabbt upp av myelomceller genom dess höga fettlöslighet och klyvs omedelbart av peptidaser till ett vattenlösligt cellgift som blir instängt inuti myelomcellen. Peptidaser spelar en viktig roll i proteinhomeostasen och i cellulära processer som cellcykelprogression och programmerad celledöd. In vitro är melflufen 50 gånger mer potent i myelomceller jämfört med dess alkylerande metabolit beroende på en ökad intracellulär koncentration av alkyleraren. Melflufen har visat cytotoxisk aktivitet i myelomcellinjer resistent mot andra behandlingar, inklusive alkylerare, och har i prekliniska studier även visats hämma DNA-reparation och angiogenes.

Om Oncopeptides

Oncopeptides är ett läkemedelsföretag med inriktning på utveckling av riktade terapier för svårbehandlade hematologiska sjukdomar. Bolaget fokuserar på utvecklingen av produktkandidaten melflufen, ett förstklassigt peptidlänkat läkemedel mot cancer som snabbt levererar ett cellgift till tumörceller. Melflufen utvecklas som en

ny behandling av den hematologiska cancersjukdomen multipelt myelom och testas för närvarande i ett flertal kliniska studier inklusive den pivotala fas 2-studien HORIZON och den pågående fas 3-studien OCEAN. Oncopeptides har huvudkontor i Stockholm och har sitt amerikanska huvudkontor i Boston, Mass. Bolaget är noterat i Mid Cap-segmentet på Nasdaq Stockholm med kortnamn ONCO.

Mer information finns på www.oncopeptides.com.