

Oncopeptides presenterar idag uppdaterade interimdata från den pågående HORIZON-studien med Ygalo® på det europeiska hematologimötet (EHA)

Stockholm – 15 juni 2018 - Oncopeptides AB (Nasdaq Stockholm: ONCO) meddelar idag att de presenterar uppdaterade interimdata med Ygalo® (melflufen) från den pågående HORIZON-studien vid den 23:e EHA kongressen i Stockholm.

De uppdaterade fas II-resultaten visar på en Overall Response Rate (ORR) på 32,1% och en Clinical Benefit Rate (CBR) på 39,3% för Ygalo® i relapserande och refraktära multipelt myelom patienter som är refraktära mot pomalidomid och/eller daratumumab efter att de slutat svara på immunmodulerande läkemedel (IMiDs) och proteasomhämmare (PIs).

Dessa data presenteras i posterformat och finns tillgängligt på: www.oncopeptides.se/sv/presentationer/cha

VD kommenterar HORIZON

"I HORIZON studerar vi aktiviteten hos Ygalo® hos myelompatienter som har återfallit i sin sjukdom efter alla eller de flesta behandlingar som för närvarande används. Därutöver är hälften av patienterna i HORIZON av ISS-grad III och hälften av patienterna har högriskcytogenetik. Det betyder att patienterna är mycket sjuka eftersom dessa två parametrar är starka prognosindikatorer för ett dåligt behandlingsresultat. Enligt vår kännedom är detta det högsta kombinerade antalet i en myelomstudie till dags dato. Trots det ser vi ett tumorsvar hos 32,1% av patienterna och sjukdomsstabilisering hos 84% av patienterna. En annan positiv initial indikation är varaktigheten av effekten samt en hanterbar säkerhetsprofil. Vi har fattat beslutet att utöka HORIZON-studien för att ytterligare förstå effekten av Ygalo® i denna svårbehandlade patientgrupp" säger Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides.

Professor Paul Richardson kommenterar

"Med ett växande antal patienter med högresistent myelomsjukdom finns ett stort behov av ytterligare behandlingsalternativ baserade på nya verkningsmekanismer. Ygalo®, en peptidasförstärkt läkemedelskandidat med potent aktivitet och hanterbar tolerabilitetsprofil som saknar överlappande resistensmekanismer med andra modaliteter, är en lovande molekyl som gör tydliga framsteg i klinisk utveckling." säger professor Paul Richardson, Harvard Medical School vid Dana-Farber Cancer Institute, Boston, USA.

Om HORIZON-studien

Patientrekryteringen fortskrider i studien. Den interimdata som presenterades vid EHA-kongressen är baserad på data per den 10 maj 2018 med 62 behandlade patienter. Patienterna i studien skall vara refraktära mot pomalidomid och/eller daratumumab efter att de slutat svara på IMiDer och PI:s.

Slutsatser angående HORIZON

Studien fortsätter att utvecklas positivt i denna kraftigt förbehandlade patientgrupp som är refraktära mot pomalidomid och/eller daratumumab efter att ha misslyckats med IMiDer och PI:s med få kvarvarande behandlingsalternativ.

- 54% av patienterna i studien hade högriskcytogenetik och 46% av patienterna var av ISS-grad III. De hade en median av 5,5 tidigare behandlingslinjer och en mediantid från ursprunglig diagnos på 6,1 år.
- 100% av patienterna var refraktära mot pomalidomid eller daratumumab, 98% hade sjukdomsprogression på eller inom 60 dagar efter avslutad sista behandling, 89% var dubbelrefraktära mot IMiDer och PI: s och 56% var refraktära mot båda pomalidomid och daratumumab.

- Interimsanalysen av effektresultaten visade på en ORR på 32,1%, en CBR på 39,3% och att 84% av patienterna uppnådde sjukdomsstabilisering (SD eller bättre).

Samlad svarsfrekvens (N=56)								
	ORR	CBR	CR	VGPR	PR	MR	SD	PD
total, N=56	32.1%	39.3%	2%	9%	21%	7%	45%	16%

- Subgruppsanalyser tyder på att svaren inte varierar mellan refraktära undergrupper utan snarare med patientens underliggande sjukdomsstatus och hälsotillstånd (detta i linje med observationer gjorda i Oncopeptides fas II-studie O-12-M1).
- Tid till nästa behandling upprätthölls jämfört med föregående behandlingslinje utan den försämring som normalt ses hos myelompatienter.
- I den föregående behandlingslinjen behandlades 75% av patienterna med antikroppsbaseerade terapier eller 2: e eller 3: e generationens IMiDer och PI:s. 46% av patienterna erhöll trippelkombinationsbehandlingar.

Denna studie bekräftar tidigare resultat från O-12-M1-studien i en mer resistent patientpopulation. Effektresultatet i denna interim analys är uppmantrande med en ORR på 32,1% och en CBR på 39,3%.

Ygalo® visade en hanterbar säkerhets- och tolerabilitetsprofil. Behandlingsrelaterade biverkningar av grad 3/4 rapporterades hos 48 (77%) patienter, varvid majoriteten av dessa var hematologiska. Behandlingsrelaterad icke-hematologiska biverkningar av grad 3/4 var sällsynta och infektioner förekom endast hos 6% av patienterna.

Om Ygalo

Ygalo®, en alkylerande peptid, tillhör en ny klass av peptidaspotentierade läkemedel (PEnCs) och inriktar sig på myelomcellens transformationsprocess med en unik verkningsmekanism. Aminopeptidaser är kraftigt överuttryckta i myelomceller och är av stor betydelse för tumörcellernas transformationsprocess. Ygalo® har en selektiv effekt på myelomceller genom en aminopeptidas driven ackumulering, in vitro-experiment visar en 50-faldig anrikning av alkylerande metaboliter i myelomceller. Anrikningen resulterar i selektiv cytotoxicitet (ökad potens i målceller och mindre toxisk påverkan på andra celler) och att resistensmekanismer för andra myelom behandlingar (inklusive alkylerare) övervinns. Ygalo® har även starka antiangiogena egenskaper.

Ygalo® i klinisk utveckling

Ygalo® har använts för att behandla RRMM-patienter i sen fas i kliniska studier i fas I och fas II (O-12-M1) med goda behandlingsresultat. För närvarande studeras Ygalo® i tre kliniska studier för behandling av multipelt myelom. De tre studierna är HORIZON, OCEAN och ANCHOR. En fjärde studie, BRIDGE i RRMM patienter med nedsatt njurfunktion, kommer att påbörjas under tredje kvartalet detta år för att ytterligare studera Ygalo® i multipelt myelom.

Syftet med det kliniska utvecklingsprogrammet för Ygalo® är att visa bättre behandlingsresultat jämfört med etablerade alternativ vid behandling av patienter med multipelt myelom. Ygalo® kan potentiellt ge behandlande läkare ett nytt läkemedelsalternativ för patienter med denna svårbehandlade cancersjukdom.

Ygalo® har studerats vid behandling av patienter med Relapserad och 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 tre kliniska studier med Ygalo®.

HORIZON är en fas II-studie som studerar effekten av Ygalo® i RRMM patienter i sen fas med få eller inga återstående etablerade behandlingsalternativ. Uppdaterade interimdata presenteras vid EHA i juni 2018.

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

I **ANCHOR** kommer Ygalo® doseras i kombination med, antingen bortezomib eller daratumumab i relapserade eller RRMM patienter. Resultaten från studien syftar till att skapa förståelse och kunskap bland behandlande



läkare för hur Ygalo® kan användas i kombination med dessa läkemedel. Detta kan även öppna upp för Ygalo® i tidigare linjers behandling.

Om Oncopeptides

Oncopeptides är ett läkemedelsföretag som utvecklar läkemedel i forsknings- och utvecklingsfas för behandling av cancer. Bolaget fokuserar på utvecklingen av produktkandidaten Ygalo®, en innovativ peptidaspotentierad alkylerare, Peptidase Enhanced Cytotoxics (PEncs). Ygalo® är avsedd för en effektiv behandling av hematologiska cancersjukdomar, och då särskilt multipelt myelom. Syftet med det kliniska utvecklingsprogrammet för Ygalo® är att visa bättre behandlingsresultat jämfört med etablerade alternativ vid behandling av patienter med multipelt myelom. Ygalo® kan potentiellt ge behandlande läkare ett nytt läkemedel för patienter med denna svårbehandlade cancersjukdom.

För mer information, kontakta:

Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides
E-post: jakob.lindberg@oncopeptides.se
Telefon: +46 (0)8 615 20 40

Rein Piir, Head of Investor Relations för Oncopeptides
E-post: rein.piir@oncopeptides.se
Mobil: +46 708 53 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 15 juni 2018 klockan 09.30 CET.

Mer information finns på www.oncopeptides.se.