

PRESSMEDDELANDE

Publicerad: 02/02 2023

Sista patientens sista besök i Tourette syndrom-studien

(Stockholm, 2 februari 2023.) **Den sista patientens sista besök ägde rum den 1 februari mindre än 12 månader efter studiens start i Asarina Pharmas kliniska fas IIa-studie i Sepranolone för behandling av Tourette syndrom. Alla patientundersökningar och behandlingar i studien har nu avslutats och antalet patientavhopp i studien blev oväntat lågt. Topline-resultat förväntas presenteras enligt plan i slutet av mars 2023.**

Totalt 28 patienter deltog i studien: en "kontrollgrupp" med 9 patienter som fick sin standardbehandling samt en "aktiv grupp" med 17 patienter som fick sin standardbehandling plus 10 mg injektioner av Sepranolone två gånger i veckan under 12 veckor. Endast två patienter hoppade av studien - en ur den aktiva gruppen och en ur kontrollgruppen. Patienterna var mellan 12 och 45 år gamla. Vuxna patienter behandlades vid Bispebjerg universitetssjukhus i Köpenhamn, tonårspatienterna vid det danska nationella centret för Tourette vid Herlev universitetssjukhus i Köpenhamn.

Den aktiva gruppen var betydligt större än vad som krävdes i studieprotokollet. Protokollet är utformat för att upptäcka en 25-procentig skillnad i Yale Global Tic Severity Scale (YGTSS), studiens kliniska primära mätvariabel, baserat på en aktiv grupp inkluderande 10 patienter. YGTSS är det kliniska standardinstrumentet för bedömning som används i studier av Tourette och andra ticsyndrom. Den mäter och utvärderar antalet, frekvensen, intensiteten, komplexiteten och störningen av motoriska och foniska symtom.

Peter Nordkild, VD: "Med ett ovanligt lågt patientavhopp och en stor aktiv grupp hoppas vi kunna leverera tydliga och detaljerade resultat om Sepranolons potentiella effekt på Tourette. Vi ser fram emot att publicera studiens resultat i slutet av mars 2023. Jag vill tacka de fantastiska teamen på Bispebjerg och Herlev samt våra frivilliga patienter och vårdare för deras bidrag och engagemang."

Behandling av Tourette: ett betydande otillfredsställt behov.

Det finns ett väl etablerat behov av en säker och effektiv läkemedelsbehandling av Tourette. En undersökning från 2018 av Tourette Association of America (1) visade att 29 % av barnen med Tourette hade provat fem eller fler olika mediciner, och 44 % av föräldrarna ansåg att nuvarande Tourette-behandlingar inte lyckas kontrollera deras barns symtom på ett adekvat sätt. Nuvarande behandlingar som haloperidol (Haldol) kan medföra extremt allvarliga biverkningar.

Den substans som prövas i studien, Sepranolone (isoallopregnanolone), har visat sig minska tics utan att framkalla några motoriska biverkningar i flera prekliniska studier (2) och har visat sig vara säkert i flera kliniska studier. Över 300 kvinnor har tagit Sepranolone i tidigare försök utan andra biverkningar än mild och reversibel lokal hudirritation.

En ny behandlingsmetod för tvångsrelaterade tillstånd.

Sepranolon är en av de första neuroendokrinologiska föreningar som testas för behandling av Tourette. Det är en endogen neurosteroid som produceras av kroppen specifikt för att rikta in sig på och modulera effekterna av allopregnanolon - en kraftfull neurosteroid som är inblandad i förstärkning av tics och en rad andra stress- och tvångsrelaterade indikationer. Tourette uppträder ofta tillsammans med andra sjukdomstillstånd. 86 % av Tourette-patienterna har minst ytterligare en störning tillsammans med Tourette, där tvångssyndrom är särskilt vanligt. I mars 2021 beviljades ett amerikanskt patent för användning av Sepranolon för behandling av tvångssyndrom.

(1)
2018, the Tourette Association of America, Impact Survey

(2)
-*Preliminary study of finasteride in Tourette syndrome*, Moroni, Bortolato et al, 2011
-*Behavioral fragmentation in the D1CT-7 mouse model of Tourette's syndrome*, Bortolato et al 2018
-*The other side of the coin: the neuropsychiatric side effects of allopregnanolone*, presentation, Prof Marco Bortolato, Allopregnanolone and its synthetic analogues: from bench to clinical strategies for neuropathology Conference, Torino, Italy, February 11 2021

För mer information, kontakta:

Peter Nordkild, VD, Asarina Pharma AB

Tel: +45 25 47 16 46

E-post: peter.nordkild@asarinapharma.com

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 GAMS-föreningar (GABA_A-modulerande steroidantagonister) strävar vi efter att leverera en ny generation av effektiva och säkra läkemedel för neuroendokrinologiska sjukdomar som fortfarande inte har någon behandling.