

Pressmeddelande

Rhythm och Camurus meddelar positiva resultat för långtidsverkande setmelanotid för behandling av sällsynt genetiskt orsakad fetma

Övertygande initiala data för veckodepå av setmelanotid baserad på Camurus FluidCrystal® teknologi

Boston, USA och Lund, Sverige — 27 juni 2017 — Rhythm och Camurus (NASDAQ STO:CAMX) meddelar idag positiva initiala resultat från en pågående klinisk fas 1A studie som utvärderar farmakokinetik och lokal tolerans av en långtidsverkande formulering av setmelanotid (RM-493), Rhythms nya melanocortin-4 receptor-agonist (MC4R) som utvecklas för behandling av sällsynta former av genetiskt orsakad fetma. Veckoformuleringen baseras på Camurus teknologiplattform FluidCrystal®. Rhythm har genom licensavtal med Camurus de globala rättigheterna för utveckling, tillverkning och kommersialisering av långtidsverkande setmelanotidprodukter.

Setmelanotid utvecklas för behandling av fetma orsakad av genetiska avvikelser i MC4-signalvägen, en viktig biologisk signalväg som reglerar kroppsvikt genom ökad energiförbrukning och minskad aptit. Den pågående fas 1A-studien är en dubbelblind, placebo-kontrollerad dos-eskalerad studie som utvärderar farmakokinetik och lokal tolerans av tre subkutana doser av en långtidsverkande setmelanotid FluidCrystal®-formulering i friska patienter med fetma (BMI \geq 30 kg/m²).

– De initiala resultaten från denna studie är imponerande och möter våra kriterier för en veckodepå av setmelanotid, både avseende farmakokinetik och lokal tolerans, **säger Keith Gottesdiener, vd och styrelseordförande för Rhythm**. Vi planerar fortsätta utvecklingen av setmelanotiddepån för att förenkla och förbättra medicinering för patienter med genetiska avvikelser i MC4-signalvägen och utvidga vår produktportfölj.

– Att minska bördan av daglig medicinering och bidra till kontinuerlig behandlingseffekt och hälsosam vikt kan väsentligen öka livskvaliteten för personer med genetiskt betingad fetma som i dagsläget har begränsade behandlingsmöjligheter, **säger Fredrik Tiberg, vd och forskningschef för Camurus**.

Den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) har beviljat setmelanotid "Breakthrough Therapy"-status för behandling av fetma orsakad av brist på pro-opiomelanocortin (POMC) and leptinreceptorer (LepR). Resultat från kliniska fas 2-studier av setmelanotid visar signifikant viktnedgång och väsentlig reduktion av hunger i patienter med fetma orsakad av brist på POMC och LepR-receptorer. Rhythm påbörjade nyligen fas 3-studier för båda dessa indikationer.

Om setmelanotid

Setmelanotid är en potent MC4-receptoragonist som utvecklas för behandling av fetma orsakad av genetiska avvikelser i MC4-signalvägen, en viktig biologisk signalväg som reglerar människors kroppsvikt genom ökad energiförbrukning och reducerad aptit. MC4-signalvägens betydelse för viktreglering är påvisad genom upptäckten att singulära genetiska defekter längs signalvägen orsakar svår och tidig fetmautveckling.

Rhythm startade nyligen fas 3-studier av setmelanotid i fetma orsakad av POMC-brist och LepR-brist. Dessa är båda ovanliga genetiska sjukdomar som ger upphov till allvarlig fetma med tidig debut och oavbruten hyperfagi (överdriven hunger), orsakad av defekter i MC4-signalvägen uppströms i förhållande till MC4-receptorn. Första effektdatan med setmelanotid visar att substansen har potential att återställa den förlorade funktionen genom aktivering av den intakta MC4-signalvägen efter den genetiska defekten hos dessa genetiska sjukdomar. Rhythm utvärderar setmelanotid för behandling av följande former av genetisk fetma: POMC-brist, LepR-brist, Prader-Willis syndrom, Bardet-Biedis syndrom, Alströms syndrom, POMC heterozygot defekt och POMC epigenetiska sjukdomar.

Om FluidCrystal® injektionsdepå

Camurus FluidCrystal® injektionsdepå möjliggör kontrollerad frisättning av aktiva läkemedelssubstanser över längre tid, från dagar till månader med en enda dosering. Teknologin utnyttjar en patenterad lipidbaserad lösning som är enkel att tillverka, hantera och injicera, till skillnad från traditionella depåteknologier som t.ex. polymera mikropartiklar. Först efter injektion omvandlas vätskan till en flytande kristallin matris som snabbt och effektivt kapslar in och skyddar den aktiva substansen för att sedan långsamt frisätta den i takt med att depån successivt bryts ner i kroppen. FluidCrystal®-baserade produkter är färdiga att användas och behöver inte blandas eller beredas innan dosering. Sammantaget erbjuder teknologin ett unikt, patientvänligt och kostnadseffektivt alternativ för administration av aktiva substanser med begränsat peroral upptag eller kort halveringstid, som peptid- och proteinläkemedel. FluidCrystal® är ett registrerat varumärke som tillhör Camurus AB.

Om Rhythm

Rhythm är ett amerikanskt biotechbaserat läkemedelsbolag fokuserat på utveckling av peptidbaserade behandlingar av sällsynta och allvarliga genetiska metabola sjukdomar. Rhythms ledande läkemedelskandidat är setmelanotid, en first-in-class MC4R-agonist för behandling av fetma, orsakad av ovanliga genetiska defekter. Rhythm stödjer The Genetic Obesity Project (www.GeneticObesity.com), som arbetar för att förbättra förståelsen av allvarliga fetmasjukdomar orsakade av specifika genetiska defekter. Företaget är baserat i Boston, USA. För mer information, se www.rhythmtx.com.

Om Camurus

Camurus är ett svenskt forskningsbaserat läkemedelsföretag med fokus på utveckling och marknadsföring av differentierade och innovativa läkemedel för behandling av svåra och kroniska sjukdomar. Produkterna baseras på den unika formuleringsteknologin FluidCrystal® samt en omfattande expertis inom alla faser av läkemedelsutveckling. Den kliniska forskningsportföljen innehåller produkter för behandling av cancer, endokrina sjukdomar, smärta och beroende. Utvecklingen sker i egen regi och i partnerskap med internationella läkemedelsbolag. Bolagets aktier är noterade på Nasdaq Stockholm under kortnamnet "CAMX". För mer information, se www.camurus.se.



Ytterligare information

Camurus:

Fredrik Tiberg, Vd och koncernchef

Tel. 046 286 46 92

fredrik.tiberg@camurus.com

Rein Piir, VP Investor Relations

Tel. 070 853 72 92

ir@camurus.com

Rhythm:

Adam Daley, Berry & Company Public Relations

Tel. +1 212 253 8881

adaley@berrypr.com

Informationen lämnades för offentliggörande den 27 juni 2017 kl. 08.00 CET.