

## PRESSMEDDELANDE

---

# FDA beviljar sär läkemedelsstatus i USA för CAM2029 för behandling av polycystisk leversjukdom

**Lund – 16 september 2021** – Camurus (NASDAQ STO: CAMX) meddelar idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har beviljat sär läkemedelsstatus (orphan drug designation) i USA för företagets långtidsverkande oktreotid subkutan depå (CAM2029) under utveckling för behandling av autosomal dominant polycystisk leversjukdom (PLD).

PLD är en sällsynt, genetisk och kronisk sjukdom som karaktäriseras av progressiv tillväxt av cystor i levern, vilket kan orsaka svåra symptom och försämrad livskvalitet. Det finns för närvarande inga godkända farmakologiska behandlingar av PLD.

”Beviljandet av sär läkemedelsstatus för CAM2029 i USA är ett viktigt steg mot att kunna ge personer med svår PLD tillgång till effektiv behandling och även en bekräftelse av vikten av vårt övergripande utvecklingsprogram för CAM2029”, säger Fredrik Tiberg, vd och forskningschef. ”CAM2029 har utformats för att möta ett betydande medicinskt behov för denna patientgrupp och kan vid ett godkännande bli den första farmakologiska behandlingen för PLD i USA.”

FDA har också nyligen beviljat Camurus tillstånd att starta en randomiserad placebokontrollerad fas 2/3-studie för att utvärdera effekt och säkerhet av CAM2029 i patienter med symptomatisk PLD.

Sär läkemedelsstatus kvalificerar läkemedelstillverkare för olika förmåner samt möjligheten att erhålla sju års marknadsexklusivitet i USA, vid ett marknadsgodkännande. FDA:s program för sär läkemedelsstatus är utformat för att främja utvecklingen av läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar som drabbar färre än 200 000 personer i USA. Mer information om FDA:s program för sällsynta sjukdomar och sär läkemedel finns tillgängligt på [www.fda.org](http://www.fda.org).

### För vidare information

Fredrik Tiberg, vd och forskningschef

Tel. +46 (0)46 286 46 92

[fredrik.tiberg@camurus.com](mailto:fredrik.tiberg@camurus.com)

Fredrik Joabsson, Chief Business Development Officer

Tel. +46 (0)70 776 17 37

[ir@camurus.com](mailto:ir@camurus.com)

### Om polycystisk leversjukdom

*Polycystisk leversjukdom (PLD) är en sällsynt, genetisk och kronisk sjukdom som karaktäriseras av progressiv tillväxt av flera (>10) vätskefyllda cystor i levern. Dessa kan orsaka allvarliga symptom såsom buksmärter och obehag, andnöd (dyspné), matsmältningsbesvär (dyspepsi), gastroesofageal reflux (halsbränna och sura uppstötningar) och begränsad rörlighet. Sällsynta komplikationer är blödningar, infektioner eller bristningar i levercystorna.<sup>1-3</sup> Bidragande faktorer till sjukdomens svårighet är ålder och kön; högre ålder korrelerar positivt med både storleken på cystorna och antalet, och kvinnor är överrepresenterade bland symptomatiska patienter.<sup>4-6</sup> De flesta patienter med PLD diagnostiseras i 30-årsåldern efter att ha rapporterat en plötslig och accelererande ökning av midjemåttet tillsammans med andra PLD-relaterade symptom.<sup>5</sup> För närvarande finns det ingen godkänd farmakologisk behandling för PLD, men ökande vetenskapliga bevis har visat på att somatostatinalogor, som till exempel oktreotid, är effektiva för att minska tillväxten av cystor och sekretion av vätska i levern och eventuellt även för att minska levervolymen.<sup>7-9</sup>*

### Om CAM2029

*CAM2029 är en långtidsverkande subkutan depå av oktreotid, under utveckling för behandling av tre sällsynta sjukdomar; akromegali, gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer (GEP-NET) och polycystisk leversjukdom (PLD). CAM2029 har framgångsrikt utvärderats i fyra fas 1- och 2-studier och undersöks för närvarande i två registreringsgrundande fas 3-studier i*

akromegali och en registreringsgrundande fas 3-studie i GEP-NET. Förberedelser pågår inför start av en fas 2/3-studie för behandling av patienter med PLD. CAM2029 är utvecklad för att ge förbättrad exponering av oktreotid samt att möjliggöra enkel självdosering med hjälp av en injektionspenna. CAM2029 har hittills beviljats sär-läkemedelstatus för behandling av akromegali i EU och för behandling av PLD i USA.

### 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](http://www.camurus.se)

### Referenser

1. Abu-Wasel, B., et al., Pathophysiology, epidemiology, classification and treatment options for polycystic liver diseases. *World J Gastroenterol*, 2013. 19(35): p. 5775-86.
2. Perugorria, M.J., et al., Polycystic liver diseases: advanced insights into the molecular mechanisms. *Nat Rev Gastroenterol Hepatol*, 2014. 11(12): p. 750-61.
3. Neijenhuis, M.K., et al., Impact of liver volume on polycystic liver disease-related symptoms and quality of life. *United European Gastroenterol J*, 2018. 6(1): p. 81-88.
4. Van Keimpema L., et al. . Patients with isolated polycystic liver disease referred to liver centres: clinical characterization of 137 cases. *Liver international : official journal of the International Association for the Study of the Liver*. 2011;31(1):92-8.
5. van Aerts RMM, et al. . Clinical management of polycystic liver disease. *J Hepatol*. 2018;68(4):827-37.50. van Aerts RMM, Kievit W, de Jong ME, Ahn C, Bañales JM, Reiterová J, et al. Severity in polycystic liver disease is associated with aetiology and female gender: Results of the International PLD Registry. *Liver international : official journal of the International Association for the Study of the Liver*. 2019;39(3):575-82.
6. Gevers T. J. G., et al. *Liver Int*. 2015 May;35(5):1607-14.. [doi: 10.1111/liv.12726](https://doi.org/10.1111/liv.12726);
7. isani A., et al. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 2016 Jul;14(7):1022-1030. [doi: 10.1016/j.cgh.2015](https://doi.org/10.1016/j.cgh.2015);
8. van Aerts R., et al., *Gastroenterology*. 2019 Aug;157(2):481-491. [doi:10.1053/j.gastro.2019.04.018](https://doi.org/10.1053/j.gastro.2019.04.018)

Denna information är sådan information som Camurus AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom verkställande direktörens försorg, för offentliggörande den 16 september 2021 kl. 11.00.