

## PRESSMEDDELANDE

## Slutförd rekrytering av patienter i POSITANO-studien av CAM2029 för behandling av polycystisk leversjukdom

**Lund — 8 februari 2024** — Camurus (NASDAQ STO: CAMX) meddelar idag avslutad rekrytering av patienter i den randomiserade, dubbelblinda, placebo-kontrollerade fas 2/3-studien, POSITANO, som utvärderar behandlingseffekt och säkerhet av företagets studieläkemedel oktreotid subkutan depå (CAM2029) i patienter med symptomatisk 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 nedsatt livskvalitet. Uppskattningsvis 37 000 patienter i EU och USA lever idag med PLD.<sup>1</sup> CAM2029 har erhållit sär-läkemedelsstatus av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av PLD.<sup>2</sup>

“Det är glädjande att rekryteringsmålet i POSITANO-studien uppnåtts och vi ser fram emot att rapportera övergripande resultat från studien under början av 2025. Trots ett betydande medicinskt behov saknas idag en godkänd medicinsk behandling för patienter med polycystisk leversjukdom”, säger Fredrik Tiberg, Camurus vd och koncernchef.

POSITANO har inkluderat 71 patienter diagnostiserade med PLD med en längdjusterad levervolym på över 1 800 mL/m och minst ett PLD-relaterat symptom inom två veckor före screening. Patienterna är randomiserade till en av två behandlingsregimer med CAM2029, eller placebo. Det primära utfallsmåttet är förändring från baslinjen till vecka 53 i längdjusterad levervolym och det första sekundära utfallsmåttet är förändring i PLD-relaterade symptom rapporterade av patienter genom ett nyutvecklat frågeformulär, PLD-S, se [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (NCT05281328).

Utöver POSITANO är CAM2029 under registrering i USA för behandling av akromegali och utvärderas i en fas 3-studie, SORENTO, för behandling av gastroenteropankreatiska neuroendokrina tumörer (GEP-NET).

### För vidare information

Fredrik Tiberg, vd och koncernchef

Tel. 046 286 46 92

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

Fredrik Joabsson, Chief Business Development Officer

Tel. 070 776 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 buksmärtor 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>3-6</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>7-9</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>8</sup> För närvarande finns det ingen godkänd farmakologisk behandling för PLD. Kliniska studier indikerar att somatostatinanaloger, som oktreotid, kan reducera cystbildning, vätskesekretion, och minska levervolym.<sup>10-12</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 studerats i ett omfattande kliniskt*

program, inkluderande fem fas 1- och 2-studier, två fas 3-studie i akromegali (ACROINNOVA 1 och 2), en pågående fas 3-studie i patienter med GEP-NET (SORENTO) samt en fas 2/3-studie i patienter med PLD (POSITANO). CAM2029 har beviljats sär läkemedelsstatus för behandling av akromegali i EU och för behandling av PLD i USA.

#### Om POSITANO-studien

POSITANO-studien (POLycystic liver Safety and efficacy TRIal with subcutANeous Octreotide) är en randomiserad, dubbelblind, multicenter, fas 2/3-studie som utvärderar effekt och säkerhet av en långtidsverkande subkutan depå av oktreotid (CAM2029) jämfört med placebo i patienter med symptomatisk polycystisk leversjukdom (PLD). Primärt utfallsmått är förändringen i levervolym justerad för patientens längd (htTLV). Det första sekundära effektmåttet är förändring av självrapporterade symptom på PLD baserat på frågeformuläret PLD-S som utvecklats av Camurus baserat på diskussioner med FDA. Studien beräknades inkludera 69 patienter med symptomatisk PLD randomiserade till en av två behandlingsregimer med CAM2029 eller placebo. Patienterna erbjuds fortsätta behandling med CAM2029 i en öppen förlängningsperiod efter den randomiserade behandlingsfasen. För mer information om studien se [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (NCT05281328).

#### 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 beroende, smärta, cancer och endokrina sjukdomar. 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.com](http://www.camurus.com).

#### Referenser

1. Est. in US and EU4+UK. Globe Life Sciences report 2020; data on file.
2. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/ood/detailedIndex.cfm?cfgridkey=836621>
3. Abu-Wasel, B., et al. Pathophysiology, epidemiology, classification and treatment options for polycystic liver diseases. *World J Gastroenterol.* 2013. 19(35): p. 5775-86.
4. Perugorria, M.J., et al. Polycystic liver diseases: advanced insights into the molecular mechanisms. *Nat Rev Gastroenterol Hepatol.* 2014. 11(12): p. 750-61.
5. 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.
6. Olaizola P., et al. Genetics, pathobiology and therapeutic opportunities of polycystic liver disease. *Nat Rev Gastroenterol Hepatol.* 2022 May 13.
7. van Keimpema L., et al. Patients with isolated polycystic liver disease referred to liver centres: clinical characterization of 137 cases. *Liver international.* 2011;31(1):92-8.
8. van Aerts RMM, et al. Clinical management of polycystic liver disease. *J Hepatol.* 2018;68(4):827-37.50.
9. van Aerts RMM, et al. Severity in polycystic liver disease is associated with aetiology and female gender: Results of the International PLD Registry. *Liver international.* 2019;39(3):575-82.
10. Gevers T. J. G., et al. Effect of lanreotide on polycystic liver and kidneys in autosomal dominant polycystic kidney disease: an observational trial. *Liver International.* 2015 May;35(5):1607-14.
11. Pisani A., et al. Long-term Effects of Octreotide on Liver Volume in Patients With Polycystic Kidney and Liver Disease. *Clin Gastroenterol Hepatol.* 2016 Jul;14(7):1022-1030.
12. van Aerts RMM, et al., Lanreotide Reduces Liver Growth In Patients With Autosomal Dominant Polycystic Liver and Kidney Disease. *Gastroenterology.* 2019 Aug;157(2):481-491.

Informationen lämnades för offentliggörande den 8 februari 2024 kl. 8.00.