

## PRESSMEDDELANDE

## EMA rekommenderar sÄrläkemedelsstatus för Camurus oktreetid subkutan depå för behandling av polycystisk leversjukdom

Lund – 20 september 2024 – Camurus (NASDAQ STO: CAMX) meddelar idag att europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) kommitté för sÄrläkemedel (COMP) utfärdat ett positivt utlåtande om sÄrläkemedelsstatus (orphan drug designation) i EU för företagets långtidsverkande oktreetid subkutan (SC) depå (CAM2029) under utveckling för behandling av autosomal dominant polycystisk leversjukdom. Europeiska kommissionen förväntas bevilja CAM2029 sÄrläkemedelsstatus inom 30 dagar.

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, av vilka merparten är kvinnor.<sup>1</sup>

“EMA:s positiva utlåtande om sÄrläkemedelsstatus för CAM2029 bekräftar behovet av läkemedel för patienter med polycystisk leversjukdom i EU, vilka idag inte har tillgång till någon godkänd farmakologisk behandling”, säger Fredrik Tiberg, Camurus vd och koncernchef. “Övergripande resultat från Camurus kliniska studie, POSITANO, av CAM2029 i patienter med symptomatisk PLD väntas under första halvåret 2025.”

CAM2029 har tidigare beviljats sÄrläkemedelstatus för autosomal dominant polycystisk leversjukdom i USA av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA<sup>2</sup> och sÄrläkemedelsstatus för behandling av akromegali i EU.

För mer information om EMA:s sÄrläkemedelsprogram se: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/orphan-designation-research-development>

### 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 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 somatostatinaloger, som oktreetid, kan reducera cystbildning, vätskesekretion, och minska leverbolym.<sup>10-12</sup>*

### Om oktreetid SC depå (CAM2029)

*CAM2029 är en långtidsverkande subkutan depå av oktreetid 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-studier i akromegali (ACROINNOVA 1 och 2), en pågående fas 3-studie i patienter med GEP-NET (SORENTO) samt en pågående fas*

2/3-studie i patienter med PLD (POSITANO). CAM2029 utvecklas för förbättrad exponering av oktreotid och för att möjliggöra enkel och bekväm självadministrering med hjälp av en injektionspenna en gång i månaden.

#### Om POSITANO-studien

POSITANO är en 52-veckors, randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad fas 2/3-studie som utvärderar behandlingseffekt och säkerhet i patienter med symptomatisk PLD. Det primära utfallsmåttet är minskning av levervolym och det första sekundära effektmåttet är reduktion av sjukdomsrelaterade symptom. 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 20 september 2024 kl. 8.00.