



# Lääkekehityksen riskit ja mahdollisuudet

Sijoitus Invest 2014, Helsinki

Pekka Simula, toimitusjohtaja, Herantis Pharma Oyj

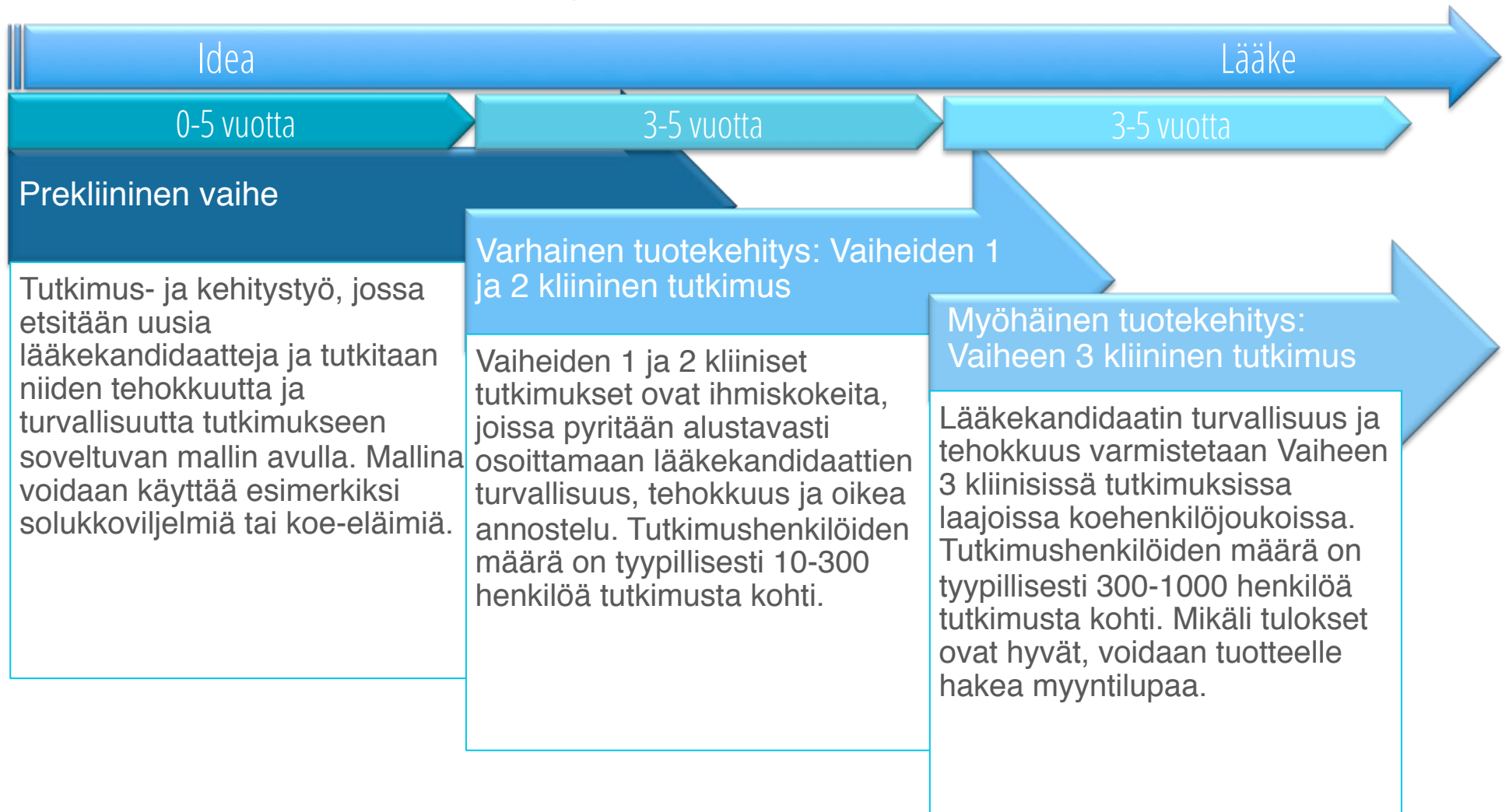
# Tärkeää tietoa

- Herantis Pharma Oy ("Yhtiö") on laatinut tämän esityksen Yhtiöstä vain taustatiedoksi
- Tässä esityksessä ei pyritä antamaan kokonaiskuvaa tai sijoitusta varten riittäviä tietoja Yhtiöstä, eikä pelkästään esityksen tai siinä olevien tietojen perusteella voida tehdä sijoituspäätöksiä
- Tämä esitys saattaa sisältää tulevaisuutta koskevia lausumia, arvioita ja laskelmia Yhtiöstä ja markkinoista, joilla se toimii. Tällaiset lausumat, arviot ja laskelmat heijastavat niitä varten tehtyjä oletuksia, jotka voivat pitää paikkansa tai osoittautua virheellisiksi. Tulevaisuutta koskevat lausumat, arviot ja laskelmat sisältävät tunnettuja ja tuntemattomia riskejä, epävarmuustekijöitä sekä muita tärkeitä tekijöitä, joiden johdosta Yhtiön todellinen tulos, toiminta ja saavutukset tai toimialan kehitys voivat poiketa olennaisesti tällaisissa tulevaisuutta koskevissa lausumissa, arvioissa ja laskelmissa nimenomaisesti tai välillisesti esitetyistä seikoista. Yhtiö ei anna vakuutuksia tai sitoumuksia tällaisista lausumista, arvioista ja laskelmista. Yhtiön tulevaisuudennäkymiin ja toimialaan liittyvät riskit on kuvattu Yhtiön Finanssivalvonnan hyväksymässä listalleottoesitteessä.

# Herantis Pharma Oyj

- Tutkii ja kehittää lääkkeitä erityisesti tulehdus-, keskushermosto- ja imusuoniston sairauksiin
  - Painopiste sairauksissa, joissa on selkeä tarve paremmille hoidoille
- Erityisosaaminen varhaisen vaiheen lääkekehityksessä
  - Vahvaan tieteelliseen tutkimukseen pohjautuvien lääkekandidaattien hankkiminen
  - Uudenlaisten, ihmiselle luontaisempien hoitojen kehittäminen
- Korkean tuotekehitysriskin vastikkeena korkea tuotto-odotus
  - Liikevaihtoa odotettavissa vasta useamman vuoden päästä, jos jokin lääkeaihio osoittautuu toimivaksi ja on kehitettävissä lääkkeeksi
  - Sijoittajille tarjoamme pitkän aikavälin mahdollisuuden olla mukana kehittämässä uudenlaista kliinisen vaiheen lääkehoitoa

# Johdanto lääkekehitykseen



Mitä tapahtuu matkalla  
ideasta apteekin hyllylle?

**HERANTIS**  
PHARMA

# Esimerkki: CDNF ja Parkinsonin tauti

*Tieteellisten tulosten perusteella Herantis uskoo, että CDNF on yksi lupaavimmista uusista lääkeaihioista Parkinsonin taudin hoitoon*

## 1. Uusi tieteellinen löydös

- Professori Mart Saarman tutkimusryhmä, Helsingin yliopisto
- CDNF-proteiinin tunnistaminen, julkaisu vuonna 2007 Nature-lehdessä

## 2. Mahdollinen sovellus

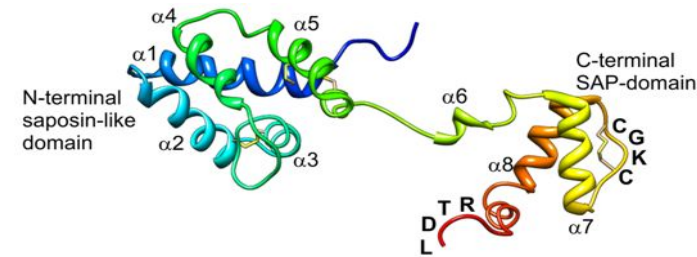
- Parkinsonin tauti johtuu dopamiinia tuottavien hermosolujen tuhoutumisesta; CDNF suojaa niitä
- CDNF saattaisi siis auttaa Parkinsonin taudin hoidossa

## 3. Kehitysvaiheen valmistelu: soveltuvuuden arviointi

- Onko CDNF turvallinen? Millaisia haittavaikutuksia siitä saattaisi teoriassa olla?
- Voiko CDNF:ää tuottaa riittäviä määriä turvallisesti, jotta valmiste kelpaisi lääkkeeksi?
- Miten CDNF annosteltaisiin potilaisiin?

## 4. Varhainen kehitysvaihe

- CDNF:n tuottaminen lääketeollisuuden laatuvaatimusten mukaisesti
- Lupahakemusten edellyttämä turvallisuuden ja tehokkuuden testaus



CDNF:n kehitysvaihe

**HERANTIS**  
PHARMA

# CDNF ja Parkinsonin tauti - seuraavaksi

## 5. Ensimmäisen vaiheen kliininen tutkimus

- Onko hoito turvallista?
- CDFN:n annostelu pienelle joukolle Parkinsonin tautia sairastaville potilaille

## 6. Toisen vaiheen kliininen tutkimus

- Paljonko potilas hyötyy hoidosta?
- Oikean annostelun löytäminen (annosmäärä, annostelun tiheys, hoitojakson pituus, annostelumuoto, potilaan kunnon tai taustan vaikutus hyötyihin ja haittoihin...)

## 7. Kolmannen vaiheen kliininen tutkimus

- Laaja tutkimus, jossa mukana vähintään satoja potilaita
- Tilastollinen "totuus" hoidon hyödyistä ja sivuvaikutuksista, tähtää myyntiluvan hakemiseen

## 8. Kaupallistaminen

- Myyntiluvan saaminen
- Lääkeaineen tuotanto kaupallisessa mittakaavassa
- Jakelukanavat, markkinointi, lääkäreiden oppimiskäyrä

Cis-UCA:n kehitysvaihe

Liikevaihto  
lääkemyynistä

**HERANTIS**  
PHARMA

Merkittävät riskit, hidas kehitystyö -  
kannattaako lääkekehitykseen sijoittaa...?



# Riskien hallinta hajauttamalla: Herantis – kolme riippumatonta lääkeaihiota

	Lääkeaihiot	Indikaatio	Prekliininen	Vaihe 1	Vaihe 2	Vaihe 3	Myyntilupa
➤	Cis-UCA-silmätipat	Kuivasilmäisyys	▲	▲	▲		
➤	CDNF-hermokasvutekijä	Parkinsonin tauti	▲	*			
➤	Lymfactin	Rintasyöpähoidon seurauksena kehittyvä lymfaturvotus	▲	*			
	Cis-UCA-emulsiovoide	Atooppinen ihottuma**	▲	▲	▲		
	CDNF-hermokasvutekijä	Amyotrofinen lateraaliskleroosi (ALS)**	▲				

\*Tämän vaiheen kliininen tutkimus valmisteilla

\*\*Ei kuulu Yhtiön päätuotteisiin. Hankkeen jatkoa päätetään myöhemmin, eikä sen rahoittamista priorisoida.

# Riskien hallinta kansainvälisellä kokemuksella



**Pekka Mattila**  
MSc, Hallituksen pj, CEO  
Desentum,  
Ex-CEO Finnzymes



**Jonathan Knowles**  
PhD, Hallituksen jäsen, Ex-  
johtoryhmän jäsen Roche, Ex-  
hallituksen jäsen Genentech, Ex-pj  
IMI, Professori



**Timo Veromaa**  
MD, PhD, Hallituksen jäsen,  
CEO Biotie Therapies



**Frans Wuite**  
MD, MBA, Hallituksen jäsen,  
CEO Oncos Therapeutics,  
Ex-CEO Araim Pharma, Ex-CEO  
Warren Pharma



**James Phillips**  
MD, MBA, Hallituksen jäsen,  
CEO Midatech, hallituksen  
jäsen Insense, Ex-pj Prosonix



**Aki Prihti**  
MSc, Hallituksen jäsen, pj  
Inveni, pj Medeia, hallituksen  
jäsen Medtentia, hallituksen  
jäsen Onbone



**Pekka Simula**  
MSc, Toimitusjohtaja, Ex-CEO  
Oncos Therapeutics, Ex-director  
CRF Health, Ex-Global program  
manager Varian Medical Systems

**Burkhard Blank**  
MD, Lääketieteellinen johtaja, Ex-  
CEO Laurantis Pharma, Ex-johtaja  
Boehringer-Ingelheim, hallituksen  
jäsen Riemser Pharma



# Maltillinen strategia riskien hallitsemiseksi

- Herantis keskittyy varhaisen vaiheen lääkekehitykseen, johon sillä on paras asiantuntemus
- Kehitystyön vaatimat investoinnit maltillisia, tyypillisesti alle 10 miljoonaa euroa lääkeaihiota kohti
- Lääkkeen myöhäisen vaiheen kehitykseen haetaan teollinen kumppani
  - Mahdollistaa liikevaihdon kehitysyhtiölle jo ennen lääkemyyntiä
  - Vältetään kaupallistamisen vaatima jopa satojen miljoonien eurojen investointitarve
  - Tavoitteena solmia vuoden 2017 loppuun mennessä vähintään yhdelle tärkeimmistä lääkeaihioista kaupallistamissopimus kotimaisen tai ulkomaisen lääkeyhtiön kanssa

# Riskien vastineena korkea tuotto-odotus

- Cis-UCA-silmätipat kuivasilmäisyyden hoitoon
  - Kuivasilmäisyyden markkinajohtaja: Restasis®, vuosimyynti 900 000 000 dollaria
  - Lääkkeen tehokkuus on kyseenalainen ja sillä on tunnettuja haittavaikutuksia; ei myyntilupaa Euroopassa
- CDNF Parkinsonin taudin hoitoon
  - Parkinsonin taudin ennustettu lääkemyynti vuonna 2018: 3 500 000 000 dollaria lääkkeitä, jotka auttavat vain taudin oireisiin
  - CDNF:ä kehitetään oireisiin ja hidastamaan taudin etenemistä
- Lymfactin lymfaturvotuksen hoitoon
  - Ei olemassa olevia lääkkeitä
  - Arvioitu satojen miljoonien eurojen markkinaksi

# Riskien vastineena – mahdollisuus auttaa

Herantiksen aktiivisen tuotekehityksen kohteet:

- Parkinsonin tauti on etenevä, parantumaton sairaus, jonka etenemistä ei osata hidastaa
- Kuivasilmäisyydestä kärsii arviolta 50 000 000 ihmistä, ja sen hoitoon käytetyissä lääkkeissä on merkittäviä puutteita
- Rintasyöpähoidon aiheuttama lymfaturvotus diagnosoidaan arviolta kymmenillä tuhansilla ihmisillä vuosittain, eikä siihen ole lääkehoitoa

Lukemattomista sairauksista kärsivät potilaat odottavat hoitoja, joiden kehittäminen voi pelastaa henkiä – ja olla hyvä sijoitus

# HERANTIS PHARMA

Kiitos

25.11.14

[www.herantis.com](http://www.herantis.com)

14

© 2014 HERANTIS PHARMA Plc. All rights reserved.