

HERANTIS
PHARMA

CDNF-lääkekehityksen päivitys Keski-Uudenmaan Parkinson-kerholle

Toimitusjohtaja Pekka Simula 2.9.2019

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 esitetystä 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



- Herantis on innovatiivinen lääkekehitysyritys, joka keskittyy regeneratiiviseen eli uudistavaan lääketieteeseen
- Kaksi lääkeaihiota kliinisissä tutkimuksissa
 - CDNF Parkinsonin taudin hoidossa: tavoitteena pysäyttää Parkinsonin taudin eteneminen
 - Lymfactin sekundäärisen lymfaturvotuksen hoidossa: tavoitteena parantaa potilaat pysyvästi
- Herantis Pharma Oyj:n osake on noteerattu Helsingin First Northissa
 - Yhtiö suunnittelee rinnakkaislistautusta Ruotsin First Northiin



Mistä uudet lääkkeet tulevat?

Uudet lääkkeet perustuvat tieteeseen

- Tieteelliset löydökset liittyen tautien mekanismeihin
- Uusien, mahdollisesti kliinisesti relevanttien molekyylien löytäminen

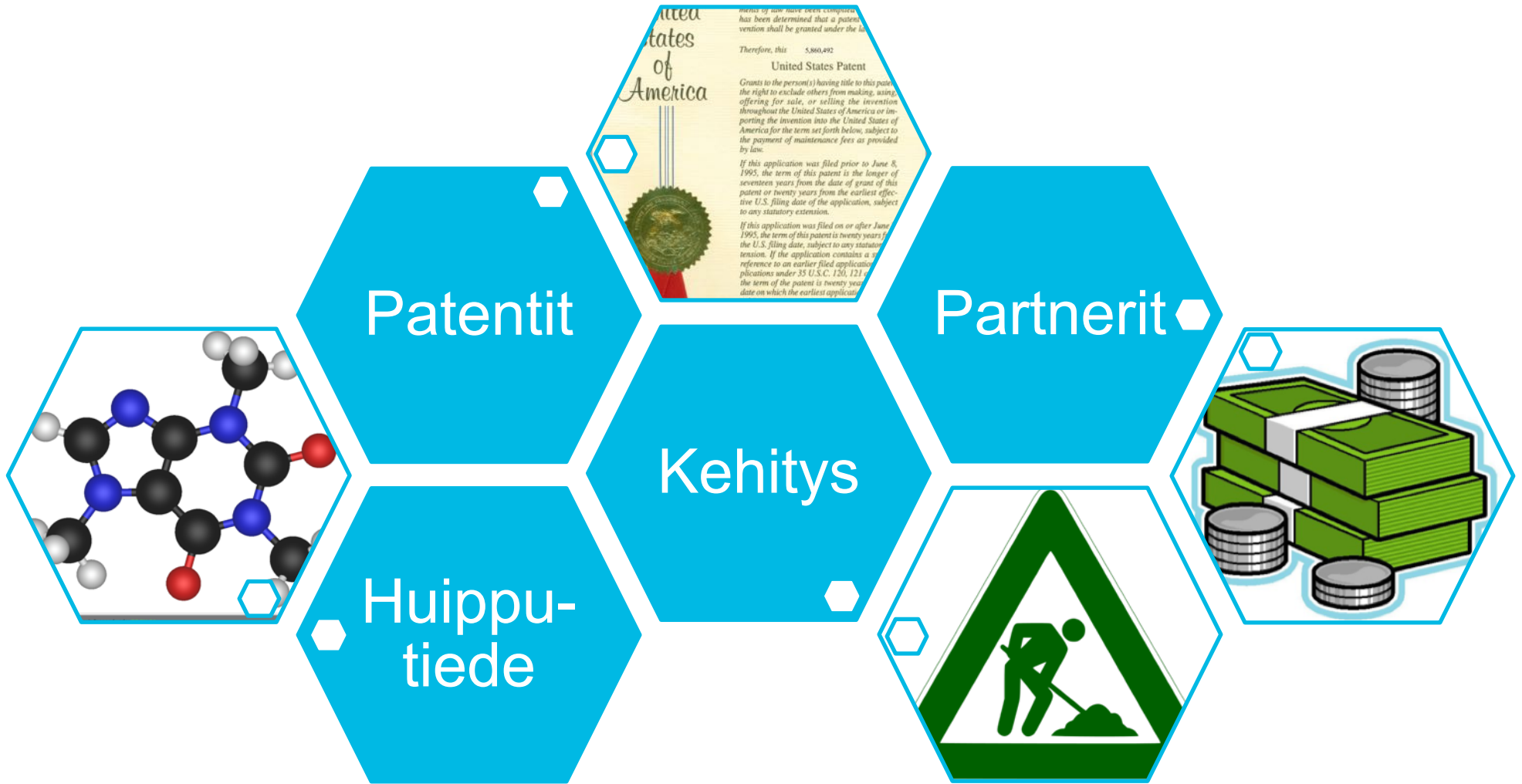
Optimointi


Laboratorio-
testit

Prekliininen
tutkimus

Kliiniset
tutkimukset

Herantiksen lääkekehityksen strategia





Hermostoluja suojaava CDNF: tavoitteena läpimurto Parkinsonin taudin hoidossa

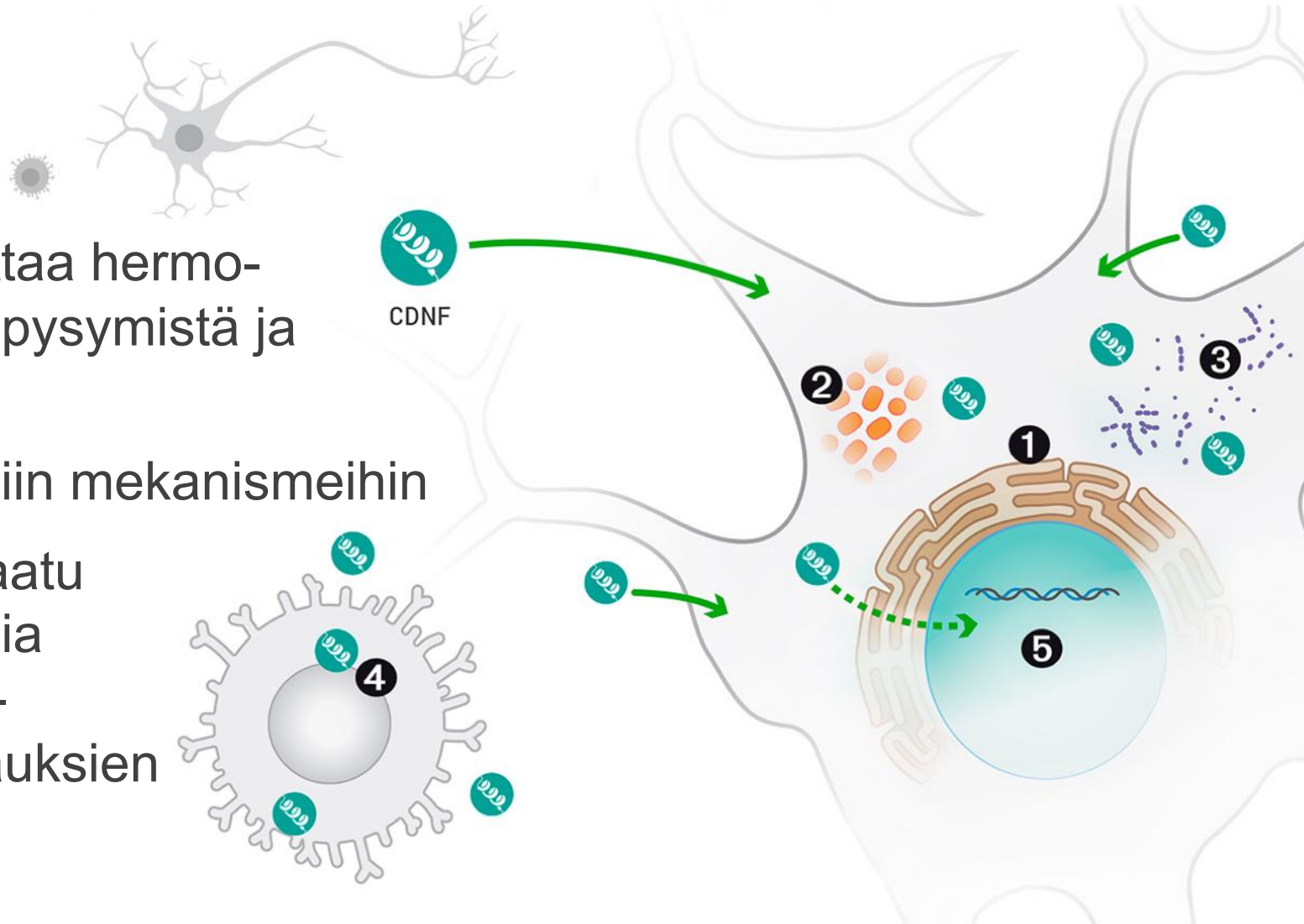
Parkinsonin tauti

- Parkinsonin tauti on parantumaton, etenevä neurologinen sairaus
- Käytetyin lääkehoito, L-dopa, on ollut käytössä yli 50 vuotta eikä se edes hidasta taudin etenemistä
- **Herantiksen CDNF pyrkii pysäyttämään taudin etenemisen**



CDNF:n tehtävänä on suojata hermosoluja rappeutumiselta

- CDFN edesauttaa hermosolujen elossa pysymistä ja toipumista
- Perustuu useisiin mekanismeihin
- CDFN:llä on saatu lupaavia tuloksia monien hermorappeumasairauksien tautimalleissa



CDNF kaksinkertaisti toimivien hermosolujen määrän Parkinsonin taudin tautimallissa*



- Tautimalli: Vakava parkinsonismi ikääntyneissä Rhesus-apinoissa
- Tulos: 3 kuukausittaista CDF-annosta kaksinkertaisti toiminnallisten hermosolujen määrän
- Merkittävä parannus motorisissa toiminnoissa, hienomotoriikassa sekä ei-motorisissa oireissa

*Tutkimusyhteistyö Pittsburghin yliopiston ja Michel J Foxin säätiön kanssa

CDNF voi mullistaa Parkinson-potilaiden elämän

- CDNF:ää tutkitaan tällä hetkellä EU:n rahoittamassa Vaiheen 1-2 kliinisessä tutkimuksessa
- Rahoituspäätöksen kriteerit: **“Johtava tiede, suurin potentiaali edistää hoitokäytäntöjä”**



Karolinska
Institutet

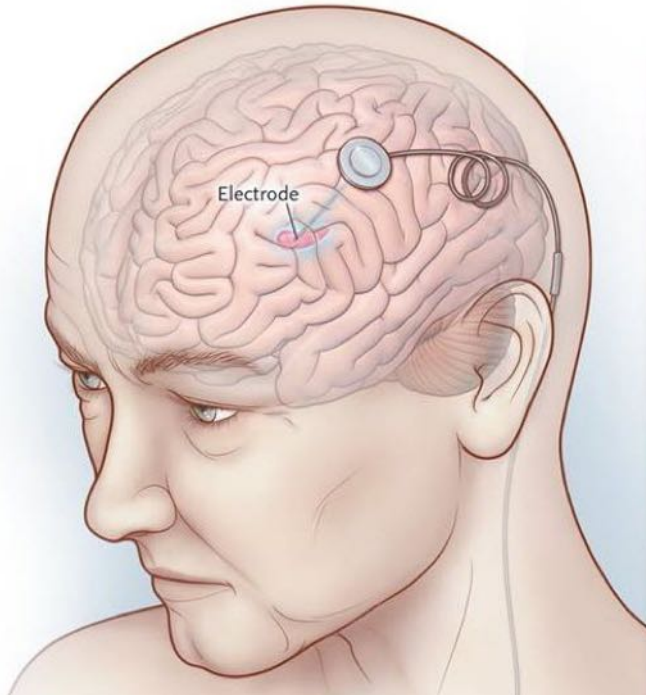
KAROLINSKA
UNIVERSITETSSJUKHUSET



- Kaikki 17 potilasta rekrytoitu tutkimukseen: CDNF vs lumelääke
- Ensimmäisiä tuloksia arvioidaan saatavan vuoden 2019 loppuun mennessä
- Ensimmäinen kliininen tutkimus → ensisijainen tavoite on turvallisuus

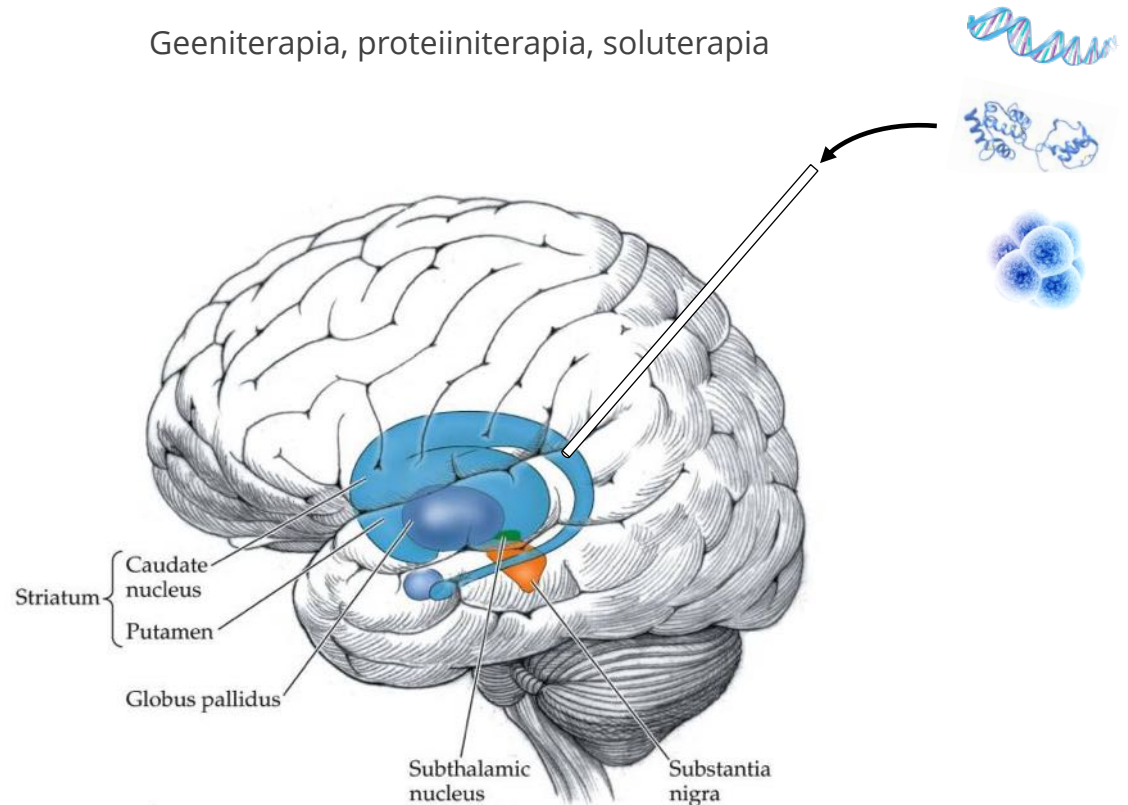
Useat nykyaikaiset Parkinson-hoidot ja tutkimus- lääkkeet edellyttävät neurokirurgisen toimenpiteen

Syväaivostimulaatio (DBS)



Okun. N Engl J Med 367:1529-1538, 2012

Geeniterapia, proteiiniterapia, soluterapia



A woman is shown in profile, blowing a dandelion seed head. The scene is bathed in a deep blue light, with a soft gradient from light blue at the top to a darker blue at the bottom. The woman's hair is dark and slightly tousled. The dandelion seed head is in the lower left, with several seeds already blown away into the air. The overall mood is contemplative and serene.

Miten CDNF-kehitys jatkuu?

Vaiheen 1-2 kliininen tutkimus jatkuu pitkään

- Päättötutkimus kestää jokaisella potilaalla kymmenen kuukautta ja siihen sisältyy 16-17 tutkimuskäyntiä!
 - Viimeinen tutkimuskäynti joulukuussa 2019
- Jatkotutkimus kestää kuusi kuukautta
 - CDNF-annostelu jatkuu ylemmillä (oletetusti tehokkaimmilla) annoksilla
- Aktiivinen hoitajakso kaikkiaan 12 kuukautta / potilas, 12 lääkeannosta (joista osalla kuusi annosta lumelääkettä)
- Pitkäaikaisseuranta jatkuu aktiivisen hoidon päätyttyä

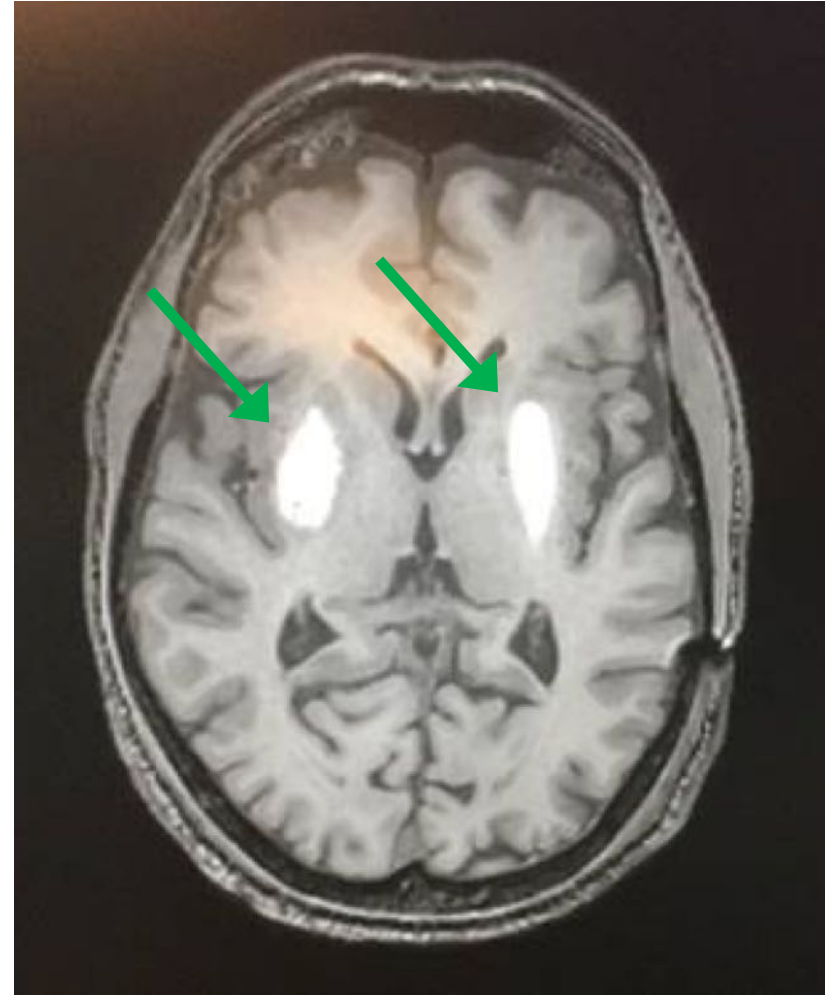
Tuloksia arvioidaan useilla mittareilla

- Turvallisuus ja siedettävyys!
- Aivojen toiminnallinen PET-kuvantaminen
- UPDRS-mittaristo
- KinetiGraph-seurantalaite
- Potilaan arvio elämänlaadusta
- Alpha-synukleiinin määrän muutos
- Jne.

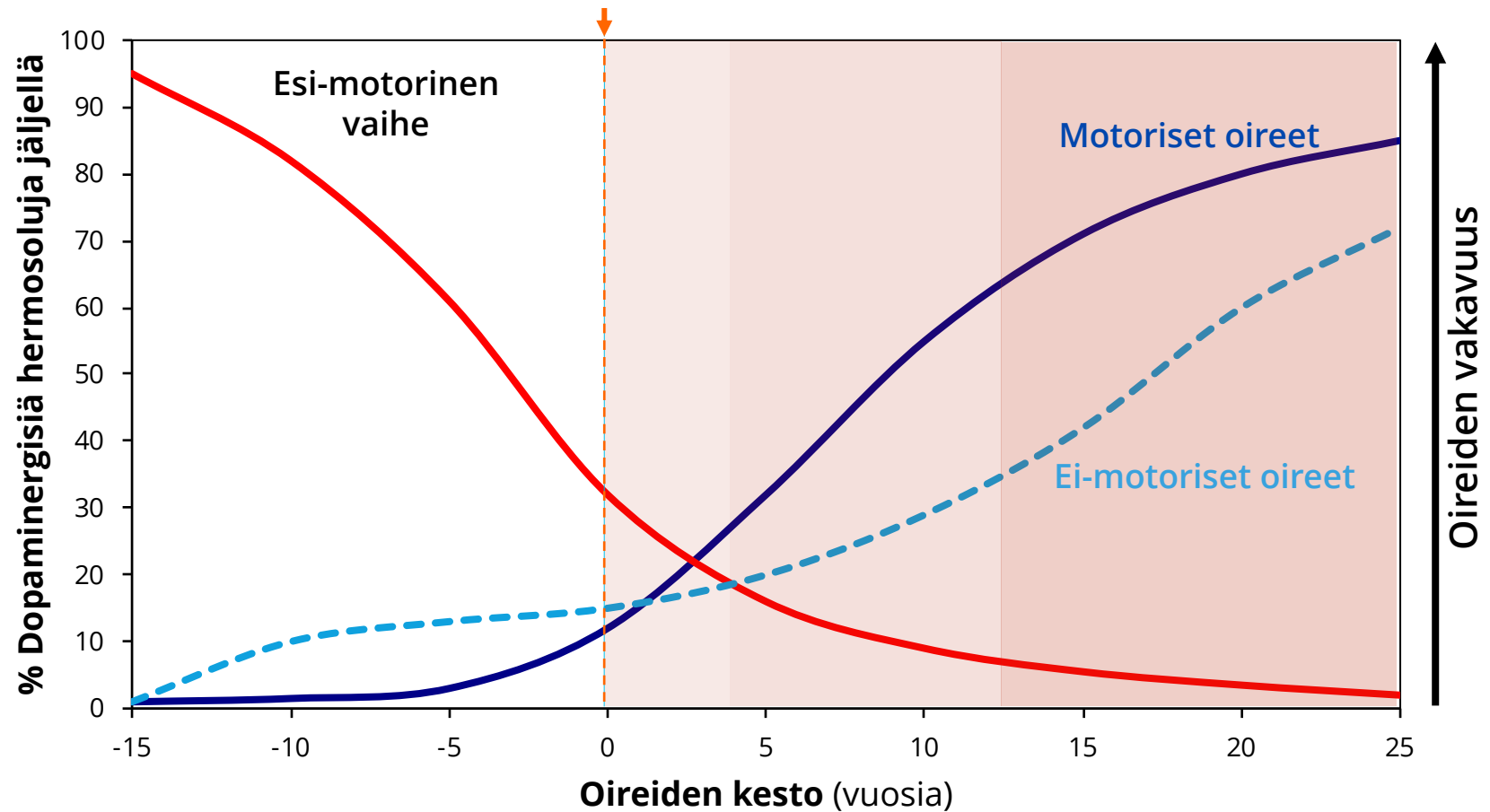


Tutkimuksesta kertyy valtavasti aineistoa

- Kaikkien tulosten analysoiminen kestää pitkään
- Esimerkki: magneettikuvantamisella on varmistettu, että laitteen asennus on onnistunut ja laite toimii, eli CDNF-lääkeaine saadaan annosteltua oikeaan paikkaan



Regeneratiivisten hoitojen haaste: hoidon aloitusajankohta



Seuraavaan kliiniseen tutkimukseen valmistaudutaan aktiivisesti – jatko riippuu tuloksista

Lääkeaineen tuotantoprosessien kehitys

Valmius tuottaa CDNF:ää kaupallisessa mittakaavassa

Kliinisen tutkimuksen valmistelu

Keskustelut johtavien Parkinson-asiantuntijoiden kanssa

Rahoitus

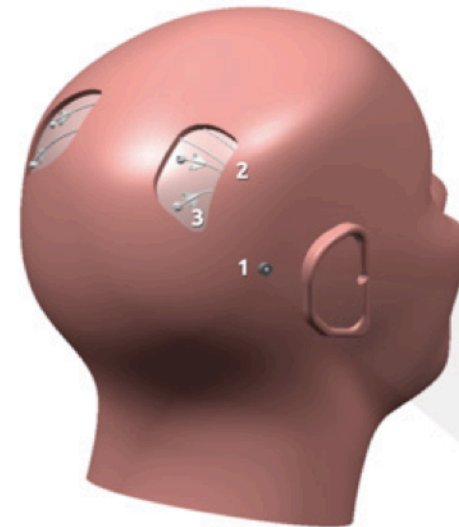
Neuvottelut seuraavan kliinisen tutkimuksen rahoituksesta

Seuraava sukupolvi: xCDNF

- Yleinen ongelma aivosairauksien hoidossa liittyy lääkkeen annosteluun → CDNF annostellaan lääketieteellisen laitteen avulla
- Olemme osoittaneet, että tietty osa CDNF-molekyylistä:
 1. Säilyttää biologisen aktiivisuuden Parkinsonin taudin tautimalleissa
 2. Päätyy aivoihin systeemisen annostelun jälkeen → käytännöllisyys
 3. Potentiaalia myös muissa sairauksissa, kuten esimerkiksi Alzheimerin tauti, ALS, aivohalvaus

➤ Nykyisen käsityksemme mukaan xCDNF voitaisiin annostella yhtä helposti kuin insuliini

A Location of implanted drug delivery device components



B Close-up view of the port structure



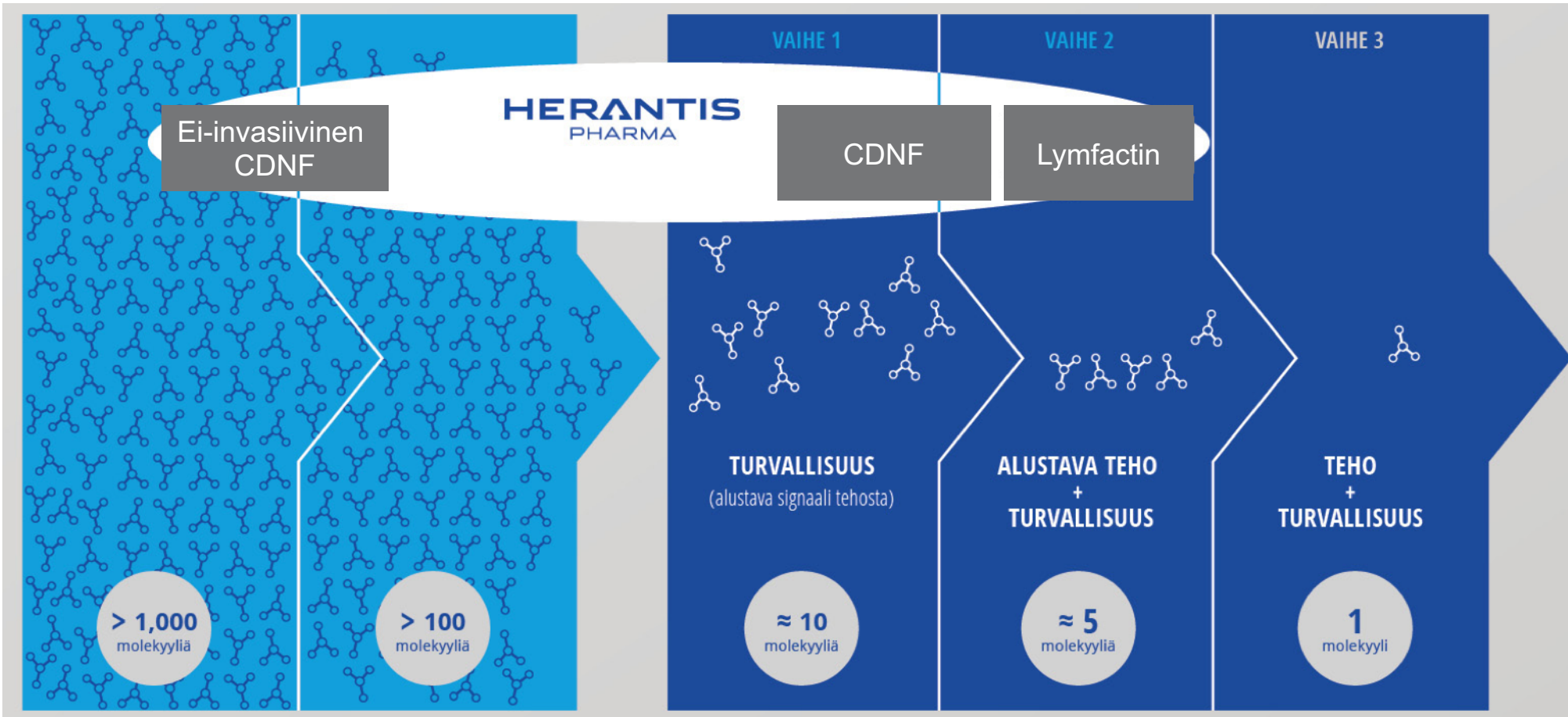
Lääkekehitys vaatii aikaa ja merkittävät resurssit

3-5 vuotta

6-10 vuotta

Lääkemolekyylin seulonta Prekliiniset tutkimukset

Kliiniset tutkimukset



Tuhansia-kymmeniä tuhansia €

Satoja tuhansia €

Miljoonia €

Kymmeniä miljoonia €

Yli sata miljoonaa €

Tyypillinen kustannus per molekyyli

HERANTIS
PHARMA

HERANTIS
PHARMA

HERANTIS
PHARMA

Kiitos

E-mail: pekka.simula@herantis.com

Twitter: [@HerantisPharma](https://twitter.com/HerantisPharma)

Blogi: <http://herantis.com/blog/?lang=fi>