



Huipputieteestä potilashoitoihin

Herantis Pharman lääkekehitys on edennyt lumekontrolloituihin kliinisiin tutkimuksiin

Sijoittaja 2018, Helsinki 20.9.2018

Toimitusjohtaja Pekka Simula

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.

Mistä lääkkeet tulevat?

- Tieteellinen löydös taudin mekanismeista tai aiheuttajasta
- Rakennetaan tai löydetään yhdiste, joka (ehkä) vaikuttaa taudin mekanismiin



Optimoidaan

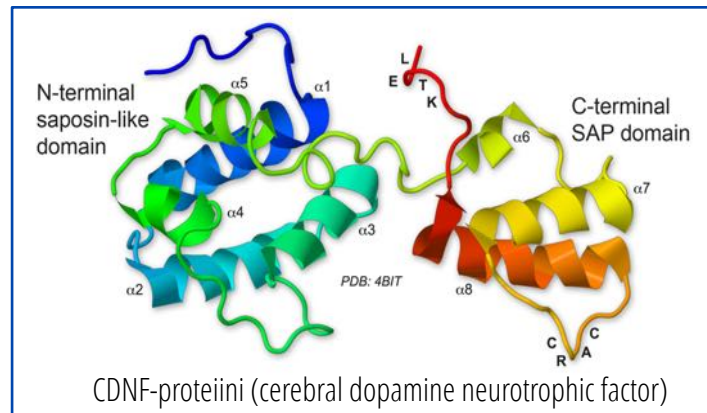
**Testataan
laboratoriossa**

**Testataan koe-
eläimillä**

**Testataan
ihmisillä**

Esimerkki: CDNF-proteiini

- Helsingin yliopiston **professori Saarman** tutkimusryhmä löysi CDNF-proteiinin ja julkaisi löydöksen arvostetussa Nature-lehdessä 2007
- **Vuosikymmenen** tieteellisen tutkimustyön perusteella CDNF:
 - on mm. nisäkkäille luontainen proteiini
 - auttaa hermosoluja pysymään toimintakykyisenä
 - suojaa hermosoluja solukuolemalta ja voi vaurioitilanteessa palauttaa niitä toimintakykyisiksi
 - On osoittautunut tehokkaaksi useissa hermorappeumasairauksien tautimalleissa
- CDNF voi auttaa Parkinsonin taudin motorisiin ja ei-motorisiin oireisiin sekä jopa **pysäyttää taudin etenemisen – mahdollisuus todelliseen läpimurtoon**



Lääkekehitys vasta alkaa löydöksestä: työ on tieteellistä ongelmanratkaisua lääketehtaan laatuvaatimuksilla

- Miten CDFN:ää tuotetaan?
- Miten osoitetaan että tuotettu CDFN on oikeasti CDFN:ää?
- Miten osoitetaan, ettei siinä ole haitallisia epäpuhtauksia?
- **Miten ihmeessä** CDFN-proteiini saadaan aivoihin?
- Kuinka paljon sitä pitää antaa ja kuinka usein?
- Mitä haittaa CDFN:stä on? Miten sen turvallisuus varmistetaan?
- Mitä kaikkia kokeita vaaditaan kliiniseen tutkimuslupaan?
- Kuka tekee kliiniset tutkimukset ja missä?
- Miten ratkaistaan kaikkiin ylläoleviin liittyvät ongelmat ja vastoinkäymiset?

Mistä rahoitus tähän kaikkeen?

...ja ennen kaikkea: tarvitaanko uutta lääkettä?

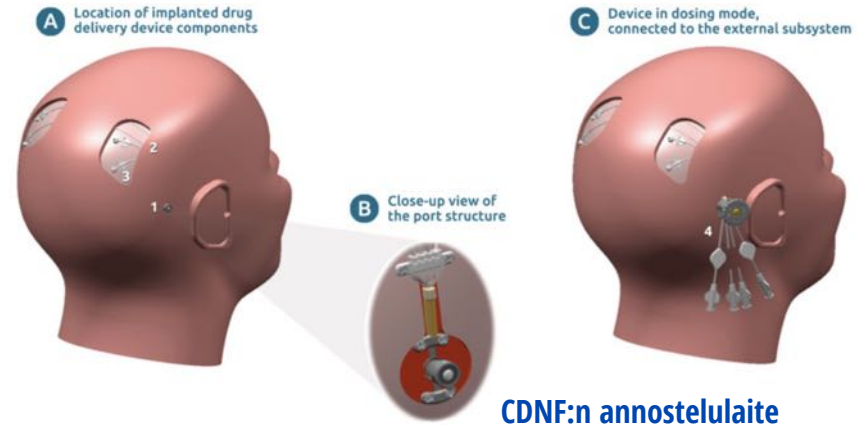
- Parkinsonin tauti on vääjäämättä etenevä hermorappeumasairaus, jota sairastaa 7-10 miljoonaa ihmistä
 - Tunnetut hoidot vain lieventävät taudin oireita. Taudin edetessä niistä ei lopulta ole hyötyä
 - Taudin etenemisen pysäyttävä hoito säästäisi yhteiskunnalle arviolta yli **\$400 000** potilasta kohti* USA:ssa; Parkinsonin taudin vuotuinen kustannustaakka Euroopassa on noin **€15 miljardia**
- Nykyistä paremmille hoidoille on **valtava tarve sekä potilaiden että kansantalouden näkökulmasta**



*University of Pennsylvania's National Parkinson Foundation

CDNF on edennyt Vaiheeseen 1-2 kliiniseen tutkimukseen

- **Satunnaistettu, lumekontrolloitu tutkimus Ruotsissa ja Suomessa**
 - Rekrytoidaan 18 potilasta joista kuusi saa lumelääkettä, 12 CDNF:ää kuuden kuukauden ajan
 - Ensimmäiset potilaat ovat jo edenneet jatkotutkimukseen, jossa CDNF:ää annetaan toiset 6 kk
 - Sokkoutus puretaan vuoden 2019 loppuun mennessä → lumelääkkeen ja CDNF:n ero?
- Tutkimuksen rahoittaa Euroopan Unioni:
“johtava tiede, suurin potentiaali muuttaa kliinisiä käytäntöjä”
- CDNF annostellaan suoraan aivoihin edistyneellä lääketieteellisellä laitteella



Miten CDF:n kehitys etenee?

- Vaiheen 1-2 tulokset 2019 jälkimmäisellä puoliskolla → jatkon valmistelu
- Herantis ilmoitti 7/2018 aloittaneensa **huomattavasti helpommin annosteltavan, ei-invasiivisen CDF:n** kehitystyön: sovellettavissa myös muihin hermorappeumasairauksiin
- Kehityksen edetessä pääoman tarve kasvaa ensin kymmeneen, sitten satoihin miljooniin: valitettavasti suomalaista rahoitusta tuskin löytyy, jolloin katse suunnataan ulkomaille
- **Kansainvälisen kumppanin haku** kehityshankkeen resursoimiseksi vahvemmin



9/19/18

HERANTIS
PHARMA

8

Esimerkkejä kumppanuuksista Parkinson-kehityksessä

- 2015: Sanofi solmi yhteistyösopimuksen pienen Voyager Therapeuticsin kanssa Parkinson-aihiosta Vaiheen 1 tutkimuksen aikana
 - Kliinisestä tehokkuudesta ei tietoa sopimusta tehtäessä
 - **Allekirjoitusmaksut lähes \$100 miljoonaa**, sopimuksen arvo: \$845 miljoonaa
- 2018: Lundbeck osti Prexton Therapeuticsin saadakseen Parkinson-lääkeaihion Vaiheen 2 tutkimuksen aikana
 - Kliinisestä tehokkuudesta ei tietoa sopimusta tehtäessä
 - **Allekirjoitusmaksu noin €100 miljoonaa**, sopimuksen arvo lähes miljardi euroa
- Alan toimintatapa: varhainen lääkekehitys on siirtynyt pieniin innovatiivisiin yhtiöihin
- Sopimuksen arvon voi suhteuttaa siihen, että lääketeollisuus käyttää **yli 2 miljardia euroa tuodakseen yhden uuden lääkkeen markkinoille**

**Merkittävät riskit, hidas kehitystyö,
liikevaihtoa vasta tulevaisuudessa...**

**Kannattaako lääkekehitykseen sijoittaa?
Mihin tulisi kiinnittää huomiota?**

Bioteknikka voi olla erinomainen sijoituskohde

Nasdaq US small cap biotechnology index 2011-2018



- Lääkekehityksessä kliiniset tutkimukset vaikuttavat oleellisesti yksittäisiin sijoituksiin
 - Esimerkiksi Eli Lillyn arvosta hävisi noin \$10 miljardia, kun lääkeaiho Solanezumabin Vaiheen 3 kliinisen tutkimuksen tulokset julkaistiin
 - BioArcticin arvo **lähes nelinkertaistui 6.7.2018**, kun Vaiheen 2 tuloksia julkaistiin

Riskien hallinta hajautuksella

Esimerkki: Herantiksella CDNF:n lisäksi toinen riippumaton lääkeaihio



- **Lymfaturvotus (LE)** on krooninen, etenevä turvotus, joka johtuu imujärjestelmän vaurioista: imuneste kertyy kudokseen
 - Maailmassa on arviolta **140 miljoona LE-potilasta**. Parantavaa hoitoa ei ole
 - Kivulias, vammauttava ja elämänlaatua merkittävästi heikentävä sairaus
- Herantiksen Lymfactin on **maailman ensimmäinen ja ainoa** kliiniseen vaiheeseen edennyt geeniterapia, joka korjaa imujärjestelmän vaurioita
- **Lymfactin on jo Vaiheen 2 kliinisessä tutkimuksessa**
 - Taustalla **akatemiaprofessori Kari Alitalon** tieteellinen löydös: ihmiselle luontainen, imuteiden kasvulle keskeinen VEGF-C-kasvutekijä

9/19/18

HERANTIS
PHARMA

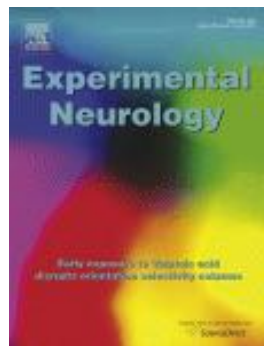
12

Riskien hallinta tieteen laadulla

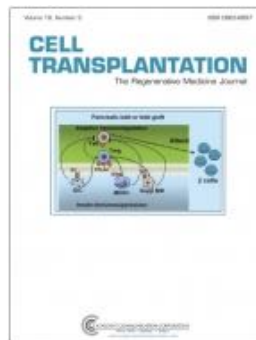
Esimerkki: Herantiksen taustatiede julkaistu mm. *Nature*ssa ja *Sciencessä*



Vol 448, 5
Jul 2007;
Lindholm
et al



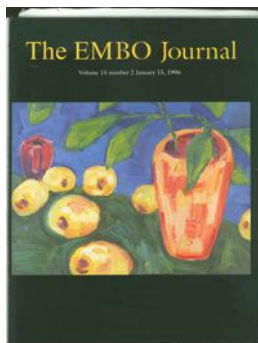
Vol 228,
Issue 1,
2011;
Voutilainen
et al



Vol 21,
Issue 6,
2012;
Airavaara
et al



Vol 11,
Issue 6,
2012;
Nadella et
al



Vol 15, Issue
2, 15 Jan
1996; Joukov
et al



Vol 276,
Issue 5317,
30 May
1997; Jeltsch
et al



Vol 5, Issue
1, Jan 2004;
Karkkainen
et al



Vol 18, Issue
14, Nov 2004;
Saaristo et al

9/19/18

13

Uskooko johto yhtiöön?

Esimerkki: Herantiksen johto osallistui mm. viimeiseen osakeantiin



HERANTIS
PHARMA

● = Toimitusjohtajan osakehankinnat

Mitä analyytikot sanovat?

Esimerkki: analyysit Herantiksesta: Edison ja Nordic Biotech and Pharma



Herantis Pharma

Innovation at its core

Herantis Pharma is focused on the development of innovative regenerative medicines targeting unmet needs. Its two lead assets are cerebral dopamine neurotrophic factor (CDNF), a potential disease-modifying treatment for Parkinson's disease (PD), and Lymfactin, the only gene therapy in development for breast cancer-related associated (BCAL) secondary lymphedema. The underlying science for both is novel and positive efficacy/safety data from ongoing proof-of-concept clinical trials expected in 2019–20 would serve as validation of the research efforts and additionally could crystallise value through partnering opportunities for these unique assets. We value Herantis Pharma at €9.3/share.

- Edison: valuaatio 9,30€ (9/2018)
- <https://www.edisoninvestmentresearch.com/>



Herantis Pharma maintains good pipeline progress, and it is now realistic that clinical results from both of its primary pipeline projects will be presented in the first half-year 2019. At the same time, capital reserves look solid.

The Herantis Pharma stock has since our latest analysis in February 2017 risen approx. 70% and is thus precisely on target for our buy recommendation with a price target of 6 EUR per share. Back then, we estimated that the stock could rise based on progress with the company's clinical studies with gene therapy Lymfactin as well as its development project CDNF for primarily Parkinson's disease.

Phase II commencement with Lymfactin

Lymfactin is being develop...

Popular Articles

Rebound Has Not Reduced Risk for Sector
March 5, 2018

Sharp Price drop in Norwegian and Finnish Healthcare
November 16, 2017

Active Biotech climbs immensely in expectation of phase III data
March 6, 2017

Crucial development for William Demant

- Nordic Biotech and Pharma: 12kk tavoitehintaa 10€ (3/2018)
- <https://nordicbiopharma.com/company-analysis/healthy-value-creation-in-herantis-pharma-continues/> (vaatii kirjautumisen)

Mitä yhteistä on...

Shinkansen-luotijunalla,
tarranauhalla...



...ja Herantiksen lääkeaihoilla?

Miljoonien vuosien evoluutio.

Kiitos

Lisätietoja: Toimitusjohtaja Pekka Simula
pekka.simula@herantis.com
@simulapekka