

Herantiksella menestyksekkäs vuosi 2021; Kovat tavoitteet ja odotukset vuodelle 2022 keskushermostosairauksien hoitoon tähtäävien lääkeaihioiden kehityksessä

Herantis Pharma Oyj, lehdistötiedote 13.1.2022 klo 09:00

Toimitusjohtaja Craig Cook kommentoi: ”2021 oli käännteentekevä vuosi Herantikselle matkalla kohti uutta vaihetta tuotekehitysohjelmassamme ja myös yhtiönä. Vuoden aikana keskitimme tutkimuksemme ja resurssimme arvonluontimme kannalta tärkeimpään toimintaan eli keskushermostosairauksien hoitoon suunnattuihin lääkeaihioihimme. Ne ovat yhtiömme perusta ja myös jatkossa toimintamme keskiössä. Lääkeaihioidemme monitahoisii toimintamekanismeihin perustuvassa huippututkimuksessamme on todelliset ainekset kehittää hoito Parkinsonin taudin etenemisen hidastamiseen, pysäyttämiseen tai jopa taudinkulun kääntämiseen. Tässä Herantiksen lääkekehitys eroaa selkeästi monien muiden alan toimijoiden lähestymistavoista hermorappeumasairauksiin. Voimme onnistuessamme kehittää hoitoja, joilla on merkittävä vaikutus potilaiden elämään. Vuonna 2022 fokuksenamme on viedä keskushermostosairauksiin keskittyvä ohjelmamme klinisiin tutkimuksiin seuraavien 12–18 kuukauden kuluessa.”

Herantis Pharma Oyj (”Herantis”), joka keskittyy hermorappeumasairauksien taudinkulkuun vaikuttavien hoitojen kehittämiseen, kertoi vuoden 2021 saavutuksistaan ja suunnitelmistaan vuodelle 2022.

Herantiksella on kaksi kehitysohjelmaa:

- 1) rhCDNF (rekombinantti humaanin CDNF) on bioteknologisesti tuotettu proteiini, joka on todettu turvalliseksi Vaiheen 1 klinisessä tutkimuksessa Parkinsonin taudin potilailla annosteltaessa suoraan aivoihin kirurgisesti asennetun laitteen avulla, ja jota valmistellaan nyt tutkittavaksi käyttäen annostelua aivoihin nenän kautta annettavana suihkeena.
- 2) HER-096 on CDNF-proteiinin aktiivisesta alueesta kehitetty pieni peptidomimeettinen yhdiste, jossa yhdistyvät rhCDNF-proteiinin vakuuttava toimintamekanismi ja kyky kulkeutua aivoihin ihon alle tapahtuvan annostelun jälkeen.

Vuoden 2021 pääkohdat:

- Lisänäyttää rhCDNF:n ja HER-096:n kyvystä taudinkulkua muuttavina hoitoina
- Vahvistus aivoihin annosteltavan rhCDNF:n pitkäaikaisesta turvallisuudesta
- Vahvistus rhCDNF:n ja HER-096:n vaikutuksesta Parkinsonin taudin biomarkkereihin
- Potilaspopulaatioiden tunnistaminen perustuen uusiin biomarkkereihin Parkinsonin taudin hoidon klinisen kehitystyön vauhdittamiseksi
- Vakuuttavia tuloksia HER-096:n kyvystä kulkeutua veri-aivoesteeseen läpi aivoihin
- HER-096:n hermosoluja suojaava ja korjaava vaikutus prekliinisissä Parkinsonin taudin eläinmalleissa
- Arvostetuista kansainvälisistä keskushermostosairauksien asiantuntijoista kootun neuvoa antavan tieteellisen komitean perustaminen

Päätavoitteet vuodelle 2022:

- Kliinistä kehitysvaihetta edeltävän HER-096:n prekliinisen ohjelman loppuunsaattaminen onnistuneesti ja valmistautuminen ensimmäiseen kliniseen tutkimukseen
- Viranomaisluvan hakeminen HER-096:n ensimmäiselle kliiniselle tutkimukselle
- Potilaspopulaatioiden määrittäminen klinistä jatkokehitystä varten
- rhCDNF:n soveltuvuus annosteltavaksi aivoihin nenän kautta annettavana suihkeena

Tarkemmat tiedot löytyvät alta.

2021

Vuoden 2021 aikana keskitimme tutkimuksemme keskushermostosairauksien hoitoon suunnattuihin lääkeaihioihimme, ja merkittävää edistystä tapahtui useilla tärkeillä osa-alueilla:

- **Taudinkulkuun vaikuttava lääkeaihio:**
 - o *Vuoden 2021 keskeisenä tavoitteena oli saada näyttöä CDNF:n potentiaalista taudinkulkua muuttavana hoitona. Tiedämme nyt, että sekä rhCDNF-proteiini että HER-096-yhdiste vaikuttavat voimakkaasti solujen proteostaasiin ja laskostumattomien proteiinien vasteeseen, joiden häiriintyminen kuuluu keskeisesti Parkinsonin taudin patologiaan. Molempien lääkeaihioiden on osoitettu kykenevän korjaamaan proteostaasiin ja laskostumattomiin proteiineihin liittyviä stressivasteita monitahoisen toimintamekanismin ansiosta, mikä yleisen näkemyksen mukaan onkin edellytys taudinkulkua muuttaville hoidoille. Vuonna 2021 ihmisillä ja eläimillä tehdyistä tutkimuksista saatu data osoittaa rhCDNF:n ja HER-096:n vaikuttavan proteostaasiin ja hermoston tulehdustilaan ja voivan siten vaikuttaa myös taudinkulkuun.*
- **Vahvistus aivoihin annosteltavan rhCDNF:n turvallisuudesta pitkäaikaisessa käytössä**
 - o Elokuussa 2021 saimme päätökseen 13 kuukautta kestäneen kliinisen seurantatutkimuksen, jossa selvitettiin rhCDNF:n turvallisuutta. Tutkimuksen tässä vaiheessa oli mukana 15 potilasta. Ennen seurantatutkimusta potilaat olivat saaneet 12 kuukauden ajan rhCDNF:ää suoraan aivoihin annosteltuna. Seurantatutkimukssamme rhCDNF osoittautui turvalliseksi ja hyvin siedetyksi.
- **Parkinsonin taudin biomarkkereihin vaikuttaminen:**
 - o *Toinen keskeinen tavoite vuodelle 2021 oli osoittaa rhCDNF:n ja HER-096:n vaikutus Parkinsonin taudin biomarkkereihin. Lääkekehitystä hidastaa se, että sairaudet kehittyvät hitaasti. Sairauden biomarkkereihin eli biologisiin merkkiaineisiin liittyvän datan avulla kehitystyötä voidaan kuitenkin nopeuttaa ja kehityskuluja pienentää, kun lääkevasteen saavien potilaiden osuus tutkimuksessa nousee. Vuonna 2021 Herantis käynnisti uuden biomarkkereihin keskittyvän tutkimusohjelman. Tutkimus osoitti rhCDNF-hoidon muuttavan aivo-selkäydinnesteessä esiintyviä biomarkkereita, ja lisäksi havaittiin, että muutokset korreloivat potilaiden motoristen toimintojen kohentumisen ja biologisen dopamiinisignaalin kanssa. Havainnoista on apua tulevien kliinisten tutkimusten potilaspopulaatioiden määrittämisessä ja kehitysohjelmien muokkaamisessa niin, että ne soveltuvat paremmin lääkeaihioillemme.*
- **Veri-aivoesteen läpäisy:**
 - o *Kolmas keskeinen tavoite vuodelle 2021 oli osoittaa, että HER-096 kykenee kulkeutumaan aivoihin farmakologisesti aktiivisena, hoidollisesti tehokkaana pitoisuutena. Veri-aivoeste on rakenne, joka suojaa aivoja vierasaineilta. Herantiksien lähtökohtana HER-096-aihiassa on nimenomaan ollut kehittää yhdiste, joka kykenisi läpäisemään veri-aivoesteen. HER-096:n veri-aivoesteen läpäisevyys näyttääkin vuonna 2021 tehtyjen tutkimusten perusteella olevan poikkeuksellisen hyvä. HER-096-lääkeaihion pitoisuus aivokudoksessa oli yli 20% pitoisuudesta veressä, kun HER-096 oli annosteltu ihon alle, mikä on 20–50-kertainen verrattuna esimerkiksi monoklonaalisten vasta-aineiden kykyyn läpäistä veri-aivoeste. Yhdellä ainoalla injektioilla voidaan siis saada aivoihin farmakologisesti aktiivinen pitoisuus yhdistettä.*
- **Hermosolujen suojaus Parkinsonin taudilta:**
 - o Vuonna 2020 tekemämme prekliiniset tutkimukset vahvistivat HER-096:n suojaavan hermosoluja erittäin tehokkaasti ennalta ehkäisevää hoitoa tutkivissa eläinmalleissa, joissa yhdiste annettiin samanaikaisesti taudin aiheuttamisen kanssa. Vuonna 2021 saadut tulokset olivat vielä merkittävämpiä, sillä HER-096:n hermosoluja suojaava vaikutus osoittautui tehokkaaksi myös

terapeuttisissa malleissa, kun HER-096 annettiin vasta Parkinsonin tautia vastaavan tilan puhkeamisen jälkeen. Sekä rhCDNF:n että HER-096:n osalta tämä haastava kynnys on nyt ylitetty ja tärkeä tavoite saavutettu. Tutkimuksemme ovat osoittaneet, että molemmat lääkeaihiot parantavat merkittävästi dopamiinihermosolujen elossa säilymistä ja toisaalta vähentävät voimakkaasti hermoston tulehdustilaa ja toksisten alfa-synukleiniinikertymien muodostumista.

Merkittävää lisäpontta kehitystyöhömme antaa viime vuonna perustettu maailmanlaajuisesti tunnetuista Parkinson-asiantuntijoista muodostettu neuvoa antava tieteellinen komitea. Komitean jäsenillä ja Herantiksen tiimillä on yhteinen innostus ja usko lääkeaihioidemme potentiaaliin, ja yhteistyöllä tulee olemaan suuri vaikutus onnistumismahdollisuuksiimme.

Vuosi 2021 oli Herantikselle haastava mutta viime kädessä myös todella palkitseva hyödynnettyämme tehokkaasti keskeisiä vahvuuksiamme ja mahdollisuuksiamme.

2022

Vuonna 2022 keskitymme siihen, että saamme vietyä lääkeaihiomme kliiniseen vaiheeseen seuraavien 12–18 kuukauden kuluessa.

- **Viranomaisluvan hakeminen HER-096:n ensimmäisen kliinisen tutkimuksen aloittamiseksi**
 - o *Vuoden 2022 tärkein painopiste on edetä HER-096:n kehityksessä kohti kliinistä vaihetta.* Vuoden toisella puoliskolla tavoitteemme on saattaa päätökseen HER-096:n ensimmäisen kliinisen tutkimuksen edellytyksenä olevat prekliiniset ja toksikologiset tutkimukset, minkä jälkeen voimme hakea viranomaislupaa terveillä vapaaehtoisilla henkilöillä ja potilailla tehtävään tutkimukseen. Vaiheen 1a tärkeimmät päätetapahtumat ovat i. turvallisuus, ii. osoitus HER-096:n kyvystä läpäistä ihmisen veri-aivoeste farmakologisesti aktiivisena pitoisuutena ja iii. biomarkkereiden kartoitus.
- **Optimaalisen potilaspopulaatioiden määrittäminen HER-096 ja rhCDNF lääketutkimuksia varten**
 - o *Keskeinen tavoite vuodelle 2022 on ymmärtää, mitkä potilaspopulaatiot hyötyisivät HER-096- ja rhCDNF-hoidosta eniten.* Tässä hyödynnämme vahvaa biomarkkeridataamme ja biomarkkeriohjelmaamme. Vuoden aikana suunnittelemme HER-096:n ja rhCDNF:n vahvuuksiin perustuvaa kliinistä tutkimusohjelmaa siihen soveltuvine potilaspopulaatioineen, biomarkkereineen ja vastemuuttujineen. Tämä potilaspopulaatio on painopisteenä kliinisissä tutkimuksissamme, joka on tarkoitus käynnistää edellä kuvatun Vaiheen 1a päätyttyä.
- **rhCDNF:n soveltuvuus annosteltavaksi aivoihin nenän kautta annettavana suihkeena**
 - o rhCDNF:n osalta keskitymme erityisesti osoittamaan, miten annostelu aivoihin onnistuu nenän kautta annettavana suihkeena. Vuoden 2022 ensimmäisen puoliskon aikana viimeistelemme nestemäiset ja jauhemaiset lääkeformulaatiot ja varmistamme niiden yhteensopivuuden annostelulaitteen kanssa. Aivoihin annostelua ryhdymme testaamaan prekliinisesti vuoden toisella puoliskolla.

Yhteystiedot lisätietoja varten:

Julie Silber/Gabriela Urquilla

Puh: +46 (0)7 93 486 277/+46 (0)72-396 72 19

S-posti: ir@herantis.com

Hyväksytty neuvonantaja: UB Securities Oy, Suomi +358 9 25 380 225, Ruotsi +358 40 5161400

Yhtiön verkkosivusto: www.herantis.com

Herantis Pharma Oyj

Herantis keskittyy lääkekehityksessään hermosoluja suojaavan proteostaasimekanismin toiminnan palauttamiseen tavoitteenaan hermorappeumasairauksien etenemisen pysäyttäminen. Avainasemassa oleva proteostaasi säätelee kehon kaikkien proteiinien toimintaa alkaen niiden synteestistä ja päättyen hajoamiseen. Sen toimintahäiriö aiheuttaa proteiinien patologisen kasautumisen ja edelleen solustressin ja hermoston tulehdustilan, jotka ovat monen hermorappeumasairauden, kuten Parkinsonin ja Alzheimerin tautien, puhkeamisen taustalla. CDNF on kehon oma proteiini, jonka tehtävä on suojata hermosoluja pitämällä proteostaasia tasapainossa ja siten ehkäistä sairauksien syntymekanismien toimintaa. Tätä CDNF:n luontaista kykyä hyödyntäen Herantis kehittää hoitoa hermorappeumasairauksiin. rhCDNF – biologinen proteiini – on Herantiksen kärkeiprojekti ja kliinisen vaiheen lääkeaiho. HER-096 – rhCDNF:n synteettinen peptidomimeettinen versio – on yhtiön rhCDNF-aihon jatko-ohjelma. Sekä rhCDNF:llä että HER-096:lla on niiden toimintamekanismiin perustuen potentiaalia kohentaa ja ylläpitää hermosolujen elossa pysymistä ja normaalia toimintaa ja siten vaikuttaa potilaiden elämään merkittävällä tavalla pysäyttämällä Parkinsonin taudin ja muiden hermorappeumasairauksien kulku.

Herantiksen osakkeet on listattu Nasdaq First North Growth Market Finland sekä Nasdaq First North Growth Market Sweden -markkinapaikoilla.

Lisätietoja: <https://www.herantis.com>

Tulevaisuutta koskevat lausumat

Tämä yhtiötiedote sisältää tulevaisuutta koskevia lausumia, jotka eivät ole historiallisia tosiseikkoja vaan lausumia tulevaisuuden odotuksista. Tulevaisuutta koskevat lausumat koskevat muun muassa Herantiksen tulevaa taloudellista asemaa ja liiketoiminnan tulosta, yhtiön strategiaa, tavoitteita, tulevaa kehitystä tai odotettuja sääntelymuutoksia niillä markkinoilla, joilla yhtiö toimii tai pyrkii toimimaan. Joitakin tulevaisuutta koskevia lausumia voi tunnistaa ilmaisuista ”aikoo”, ”arvioi”, ”ennustaa”, ”jatkaa”, ”mahdollinen”, ”odottaa”, ”ohjeistus”, ”olettaa”, ”pitäisi”, ”saattaa”, ”suunnittelee”, ”tähtää”, ”uskoo”, ”voisi” tai näiden ilmaisujen kieltomuodoista ja vastaavista ilmaisuista. Luonteeltaan tulevaisuutta koskevat lausumat sisältävät tunnettuja ja tuntemattomia riskejä ja epävarmuustekijöitä, koska ne liittyvät tapahtumiin ja johtuvat olosuhteista, jotka joko tapahtuvat taikka eivät tapahdu tulevaisuudessa.

Tulevaisuutta koskevat lausumat eivät ole takeita tulevasta kehityksestä, ja ne perustuvat moniin oletuksiin. Yhtiön todellinen liiketoiminnan tulos, mukaan lukien yhtiön taloudellinen asema ja maksuvalmius sekä yhtiön toimialan kehitys, saattavat poiketa olennaisesti siitä ja olla heikompia kuin mitä näissä yhtiötiedotteen tulevaisuutta koskevissa lausumissa on kuvattu tai esitetty. Tekijöitä, mukaan lukien riskejä ja epävarmuustekijöitä, jotka saattavat aiheuttaa tällaisia poikkeamia, voivat olla esimerkiksi riskit liittyen Herantiksen strategian toteuttamiseen, riskit ja epävarmuudet liittyen Herantiksen lääkeaihojen kehitykseen ja/tai hyväksyntään, käynnissä oleviin ja tuleviin kliinisiin tutkimuksiin ja odotettuihin koetuloksiin, kykyyn kaupallistaa lääkeaihoita, teknologian muutoksiin ja uusiin tuotteisiin Herantiksen mahdollisilla markkinoilla ja toimialalla, Herantiksen toimintavapauteen niihin tuotteisiin liittyen, joita se kehittää (ja jota esimerkiksi kilpailijoiden patentit voivat rajoittaa), kykyyn kehittää uusia tuotteita ja parantaa olemassa olevia tuotteita,

kilpailuvaikutuksiin, muutoksiin yleisessä taloudellisessa tilanteessa ja toimialan olosuhteissa, ja oikeudellisiin, hallinnollisiin ja poliittisiin tekijöihin. Lisäksi vaikka Herantiksen historiallinen liiketoiminnan tulos, mukaan lukien yhtiön taloudellinen asema ja maksuvalmius sekä sen toimialan kehitys, joilla yhtiö toimii, ovat johdonmukaiset tämän yhtiötiedotteen sisältämien tulevaisuutta koskevien lausumien kanssa, nämä tulokset tai tapahtumat eivät välttämättä anna viitteitä tuloksista tai tapahtumista tulevilla ajanjaksoilla.