

PRESSMEDDELANDE

Camurus studie POSITANO visar behandlingseffekt av CAM2029 i patienter med polycystisk leversjukdom

- CAM2029 minskar tillväxt av lever- och cystvolym jämfört med placebo
- Väl tolererad utan nya eller oväntade säkerhetsobservationer
- Fas 3-studie kommer diskuteras med regulatoriska myndigheter

Lund — 18 juni 2025 — Camurus (NASDAQ STO: CAMX) meddelar idag övergripande resultat från den 12-månaders, randomiserade, dubbelblinda, placebokontrollerade fas 2b-studien, POSITANO (NCT05281328), som utvärderar behandlingseffekt och säkerhet av oktreotid subkutan (SC) månadsdepå (CAM2029) i patienter med symptomatisk polycystisk leversjukdom (PLD).

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 personer i USA och EU har PLD, varav merparten är kvinnor.¹ Det finns idag ingen godkänd medicinsk behandling av PLD.

"POSITANO-studien visar att CAM2029 signifikant reducerar lever- och total cystvolym jämfört med placebo. Resultaten visar också förbättringar i symptom, vilket bedömts utifrån relevanta patientrapporterade utfallsmått", säger doktor Joost P.H. Drenth, professor i hepatologi vid Amsterdam University Medical Center samt koordinerande prövare för POSITANO-studien. "Det finns ett betydande medicinskt behov av behandling för patienter med polycystisk leversjukdom och resultaten från POSITANO-studien är lovande för våra patienter."

POSITANO inkluderade totalt 71 patienter med symptomatisk PLD som randomiserats 1:1:1 till behandling med CAM2029 i två olika dosgrupper eller till placebo. Studien uppnådde det primära utfallsmåttet och visade på signifikant relativ reduktion i längdjusterad levervolym (htTLV) från baslinjen till vecka 53 om 4,3% ($p=0,044$) för de kombinerade CAM2029-grupperna jämfört med placebo. Motsvarande relativa minskning av den total levercystvolymen var 8,7% ($p=0,016$). Vidare resulterade CAM2029 i förbättringar av sjukdomssymptom och andra patient- och kliniskt rapporterade utfallsmått under behandlingstiden.

"POSITANO-studien nådde sitt primära utfallsmått och visade att CAM2029 minskar tillväxten av lever- och cystor i patienter med polycystisk leversjukdom och kan förbättra sjukdomssymptom och andra behandlingsrelaterade utfall", säger Fredrik Tiberg, Camurus vd och koncernchef. "Baserat på resultaten avser Camurus att diskutera utformningen av en bekräftande fas 3-studie med regulatoriska myndigheter i USA och Europa."

CAM2029 tolererades väl och uppvisade en säkerhetsprofil som är jämförbar den etablerade säkerhetsprofilen för somatostatinanaloger, oktreotid eller lanreotid för injektion. De vanligaste rapporterade biverkningarna var diarré och andra gastrointestinala effekter samt injektionsreaktioner av mild eller måttlig intensitet. Inga nya eller oväntade säkerhetshändelser noterades. Detaljerade resultat från POSITANO-studien kommer redovisas vid framtida vetenskapliga möten och i publikationer.

Efter att behandlingen i den randomiserade delen av POSITANO slutförts, fortlöper behandlingen av patienter med CAM2029 i en 2,5-års, öppen förlängningsfas av studien där ytterligare effekt- och säkerhetsdata insamlas och rapporteras. CAM2029 har beviljats sär läkemedelstatus för autosomal dominant polycystisk leversjukdom i USA av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA och i EU av den Europeiska kommissionen.

För vidare information

Fredrik Tiberg, vd och koncernchef

Tel. 046 286 46 92

fredrik.tiberg@camurus.com

Fredrik Joabsson, Chief Business Development Officer
 Tel. 070 776 17 37
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 buksmärter och obehag, andnöd (dyspné), matsmältningsbesvär (dyspepsi), gastroesofageal reflux (halsbränna och sura uppstötningar) och begränsad rörlighet. Sällsynta komplikationer är blödningar, infektioner eller bristningar i levercystorna.²⁻⁵ 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.⁶⁻⁸ 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.⁷ För närvarande finns det ingen godkänd farmakologisk behandling för PLD. Kliniska studier indikerar att somatostatinanaloger, som oktreotid, kan reducera cystbildning, vätskesekretion, och minska leverbolym.⁹⁻¹¹

Om oktreotid SC depå (CAM2029)

CAM2029 är en långtidsverkande subkutan depå av oktreotid 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 i en 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 Camurus

Camurus är ett internationellt forskningsbaserat läkemedelsföretag med fokus på utveckling och marknadsföring av differentierade och innovativa läkemedel för att förbättra livet för patienter med svåra och kroniska sjukdomar. Produkterna baseras på den unika formuleringsteknologin FluidCrystal® samt en omfattande expertis inom alla faser av läkemedelsutveckling. Utvecklingsportföljen innehåller produkter för behandling av beroende, smärta, cancer och endokrina sjukdomar. Camurus har verksamhet i Europa, USA och Australien, med huvudkontor i Lund, Sverige. Bolagets aktier är noterade på Nasdaq Stockholm under kortnamnet "CAMX". För mer information, se www.camurus.com och [LinkedIn](#).

Referenser

1. Uppskattning USA och EU4+Storbritannien. Globe Life Sciences report 2020; data on file.
2. Abu-Wasel, B., et al. Pathophysiology, epidemiology, classification and treatment options for polycystic liver diseases. *World J Gastroenterol*. 2013. 19(35): p. 5775-86.
3. Perugorria, M.J., et al. Polycystic liver diseases: advanced insights into the molecular mechanisms. *Nat Rev Gastroenterol Hepatol*. 2014. 11(12): p. 750-61.
4. 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.
5. Olaizola P., et al. Genetics, pathobiology and therapeutic opportunities of polycystic liver disease. *Nat Rev Gastroenterol Hepatol*. 2022 May 13.
6. 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.
7. van Aerts RMM, et al. Clinical management of polycystic liver disease. *J Hepatol*. 2018;68(4):827-37.50.
8. 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.
9. 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.
10. 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.
11. 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.

Denna information är sådan information som Camurus AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom verkställande direktörens försorg, för offentliggörande den 18 juni 2025 kl. 8.00.