Stockholm **Pressmeddelande 14 juni 2019**

Oncopeptides presenterar nya data från fas 1/2-studien ANCHOR med melflufen i RRMM-patienter vid det 24:e europeiska hematologimötet (EHA)

Stockholm - 14 juni 2019 - Oncopeptides AB (Nasdaq Stockholm: ONCO meddelar att nya data presenteras idag vid den 24:e kongressen för European Hematology Association (EHA) i Amsterdam. Posterpresentationerna omfattar uppdaterade interimsdata från den pågående fas 1/2-studien ANCHOR och data från fas 1/2-studien O-12-M1.

Den 16 juni 2019 kommer även interimsdata från Oncopeptides pågående pivotala fas 2-studie HORIZON presenteras av professor Paul G. Richardson, MD, RJ Corman professor i medicin vid Harvard Medical School och direktör för klinisk forskning vid Jerome Lipper Multiple Myeloma Center, Dana-Farber Cancer Institute, Boston, USA.

De fullständiga postrarna som presenteras på EHA finns på företagets hemsida under:

www.oncopeptides.com **/ Investerare & media / Presentationer / 2019 EHA**

VD Jakob Lindberg kommenterar

"Det är väldigt uppmuntrande att vi fortsätter se att en hög andel av patienterna svarar på behandlingen och att och att behandlingsresponsen förbättras över tiden för melflufen i kombination med proteasomhämmare eller anti-CD38-terapier i den pågående ANCHOR-studien i patienter med relapserande / refraktärt multipelt myelom. Resultaten för progressionsfri överlevnad ser också lovande ut. Några patienter har stått på behandling i mer än ett år och hittills är det endast en patient i varje arm vars sjukdom har progredierat. I och med att även biverkningsprofilen fortsätter att se lovande ut ger detta ytterligare stöd för att melflufen kan vara värdefullt för myelompatienter också som en del av kombinationsbehandlingar", säger Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides. "Resultaten från O-12-M1-studien visar att behandling med melflufen kan stabilisera sjukdomen och leda till ett långt tidsintervall till påföljande behandling. Det här är strategiskt viktigt ur ett hälsoekonomiskt perspektiv och ger stöd för att melflufen har potentialen att spela en viktig roll vid behandling av patienter med RRMM."

Sammanfattande slutsatser från ANCHOR-presentationen:

- Baserat på interimsdata från ANCHOR-studien tolereras behandling med melflufen plus dexametason i kombination med antingen bortezomib eller daratumumab. väl i RRMM patienter
- Trenden för effekten är uppmuntrande för båda kombinationerna, och 90% av patienterna står fortfarande på behandling.
- För patienter som hade avslutat två eller flera behandlingscykler var den totala responsen (ORR) 100% för bortezomibkombinationen och 82% för daratumumabkombinationen. Tumörsvaret förbättrades med fortsatt behandling för båda kombinationerna.
- Ingen dosbegränsande toxicitet (DLT) har observerats i någon av behandlingsarmarna eller för någon dosnivå. Grad 3/4-biverkningar (AE) var mestadels hematologiska och alla var kliniskt hanterbara.

Dr Enrique Ocio kommenterar

"De uppdaterade interimsresultaten från ANCHOR där melflufen plus dexametason kombineras, antingen med bortezomib eller daratumumab i patienter med relapserande / refraktärt multipelt myelom, uppvisar väldigt uppmuntrande effekt både gällande hur stor andel av patienterna som svarar och hur länge de svarar på behandlingen. Det kommer att vara spännande att fortsatta att följa hur studieresultaten fortsätter att utvecklas i

takt med att flera patienter rekryteras och fortsätter behandlas med kombinationsbehandlingar med melflufen", sade Dr. Enrique Ocio at Hospital Universitario Marques de Valdecilla, Santander, Spain.

Om OP-104 AHCHOR studien

ANCHOR är en fas 1/2-studie där melflufen och dexametason (steroid) doseras i kombination med antingen bortezomib eller daratumumab. Alla patienter måste ha genomgått 1 till 4 tidigare behandlingslinjer och vara resistenta mot (eller inte tolerera) ett immunmodulerande läkemedel (IMiD) eller en proteasomhämmare (PI) eller båda. Rekryteringen till studien fortskrider på ett flertal prövningscentra globalt.
Mer information finns på: https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03481556?term=melflufen&rank=4

För kombinationen med bortezomib (Regim A) får patienterna inte vara resistenta mot en PI och för kombinationen med daratumumab (Regim B) får patienterna inte ha exponerats mot någon anti-CD38-behandling tidigare. Patienterna kommer att behandlas tills sjukdomsprogression eller oacceptabel toxicitet uppstår. Det primära syftet med fas 1-delen av studien är att fastställa den optimala dosen av melflufen, upp till högst 40 mg, och dexametason i kombination med bortezomib eller daratumumab. Ytterligare patienter per behandlingsarm rekryteras i fas-2 delen av studien där det primära effektmålet är tumörsvarsfrekvens (Overall Response Rate,ORR).

Sammanfattning av interimsdata för OP-104 ANCHOR

Melflufen i kombination med bortezomib - Regim A

Den 8 maj 2019, vid tidpunkten för datainsamling för interimsanalysen, hade fem patienter behandlats med melflufen plus steroid i kombination med bortezomib (tre patienter på 30 mg och två patienter på 40 mg). Medianåldern var 73 år med en median av 2 tidigare behandlingslinjer, ingen patient hade uppnått fullständigt tumörsvar (Complete Response, CR) i någon av de tidigare behandlingarna. Alla patienter var relapserande och refraktära och två av fem patienter var resistenta mot sista linjens behandling (sjukdomsprogression under behandling).

Medianbehandlingstiden var 7,4 månader. Fyra patienter var fortsatt under behandling vid tidpunkten för datainsamling medan en patient avslutat behandlingen efter 10 månader p.g.a. sjukdomsprogression. Två patienter uppnådde s.k. Very Good Partial Response (VGPR) och tre patienter uppnådde s.k. Partial Response (PR) vilket motsvarar en total tumörsvarsfrekvens om 100% (ORR).

Melflufen i kombination med daratumumab - Regim B

Den 8 maj 2019, vid tidpunkten för datainsamling för interimsanalysen, hade 24 patienter behandlats med melflufen plus steroid i kombination med daratumumab (sex patienter med 30 mg och 18 patienter med 40 mg). Medianåldern var 60 år med en median av 2 tidigare behandlingslinjer.

Medianbehandlingstiden var 7,9 månader för patienterna som behandlats med 30 mg och 1,2 månader för 40 mg-gruppen. Samtliga sex patienter i 30 mg-gruppen och 16 av de 18 patienterna i 40 mg -gruppen stod fortsatt på behandling. 2 patienter avslutade behandling enligt läkares beslut (en då patienten inte svarade på behandlingen).

	No. of Patients								Percentage of Patients	
Subgroup	sCR	CR	VGPR	PR	MR	SD	PD	NA	ORR	CBR
Total (n=24)	0	1	4	4	4 a)	2	0	9	60%	87%
Patients with 2+ completed cycles therapy (n=11)	0	1	4	4	1 b)	1	0	0	82%	91%

CBR, clinical benefit rate; CR, complete response; MR, minimal response; NA, no assessment at time of data cutoff; ORR, overall response rate; PD, progressive disease; PR, partial response; sCR, stringent CR; SD, stable disease; VGPR, very good PR.

a) Includes 3 unconfirmed MR. b) Includes 1 unconfirmed MR.

Sammanfattande slutsatser från O-12-M1 presentationen

- Behandling med Melflufen plus dexametason (steroid) resulterar i sjukdomsstabilisering hos 76% av RRMM-patienterna, vilket innebär en mediantid till nästa behandling på 7,9 månader (10,6 månader vid censurering vid dödsfall), vilket är ett bra resultat i jämförelse med andra relevanta kliniska studier.
- En medianöverlevnad (OS) på 20,7 månader i dessa RRMM-patienter som genomgått flera tidigare behandlingsomgångar. Detta indikerar att behandling med melflufen är förknippad med en långsiktig nytta och möjliggör att patienterna kan få ytterligare efterföljande behandling för att kontrollera sjukdomen.
- Resultatet stöder tidigare data som visar en lovande effektprofil för melflufen vid behandling av RRMM.

Dr Sara Bringhen kommenterar

"Det är mycket viktiga data som presenteras vid EHA från fas 1/2-studien O-12-M1. En hög andel patienter, 76%, uppnådde sjukdomsstabilisering och mediantiden till nästa behandling var 7,9 månader. Medianöverlevnaden på 20,7 månader som observerades i denna avancerade RRMM-patientpopulation tyder på att behandling med melflufen kan innebära en långsiktig fördel för patienterna genom att möjliggöra att patienter kan få ytterligare behandling för att signifikant kontrollera sin sjukdom vilket leder till förbättringar av både behandlingsresultat och livskvalitet", sade Dr. Sara Bringhen på the Division of Hematology, University of Torino, Italy.

För ytterligare information kontakta:

Jakob Lindberg, VD för Oncopeptides
E-post: jakob.lindberg@oncopeptides.com
Telefon: +46 (0) 8 615 20 40

Rein Piir, chef för Investor Relations vid Oncopeptides
E-post: rein.piir@oncopeptides.com
Mobiltelefon: +46 (0) 70 853 72 92

Denna information är sådan information som Oncopeptides är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 14 juni 2019 kl.09.40.

Om melflufen

Melflufen är en lipofil peptidlänkad alkylerare som snabbt resulterar i en kraftig ansamling av cytotoxiska metaboliter i myelomceller genom peptidasaktivitet. Melflufen tillhör den nya klassen Peptidase Enhanced Cytotoxics (PEnCs), en familj lipofila peptider som verkar genom att de blir kluvna av peptidaser och som har potential att kunna behandla flera olika cancertyper. Peptidaser spelar en viktig roll i proteinhomeostasen och i cellulära processer som cellcykelprogression och programmerad celldöd. Melflufen tas snabbt upp av myelomceller genom dess höga lipofilicitet och klyvs omedelbart av peptidaser till en hydrofil alkylerare som blir fångad inuti myelomcellen. In vitro är melflufen 50 gånger mer potent i myelomceller jämfört med dess alkylerande metabolit beroende på peptidasaktiviteten och inducerar irreversibla skador på DNA samt programmerad celldöd. Melflufen har visat cytotoxisk aktivitet i myelomcellinjer resistenta mot andra behandlingar, inklusive alkylerare, och har i prekliniska studier även visats hämma DNA-reparation och angiogenes.

Om Oncopeptides

Oncopeptides är ett läkemedelsföretag med inriktning på utveckling av riktade terapier för svårbehandlade hematologiska cancerformer. Bolaget fokuserar på utvecklingen av produktkandidaten melflufen, en lipofil peptidlänkad alkylerare, tillhörande en ny läkemedelsklass kallad Peptidase Enhanced Cytotoxics (PEnC). Melflufen utvecklas som en ny behandling av den hematologiska cancersjukdomen multipelt myelom och testas för närvarande i en pivotal fas 2-studie kallad HORIZON och en bekräftande klinisk fas 3-studie kallad OCEAN där rekrytering pågår. Oncopeptides har huvudkontor i Stockholm och är noterat i Mid Cap-segmentet på Nasdaq Stockholm med kortnamn ONCO.

För mer information besök www.oncopeptides.com.