

2010-07-07

KARO BIO VÄLJER NISCHINDIKATION MED STORT MEDICINSKT BEHOV INFÖR KLINISK FAS III-UTVECKLING AV EPROTIROME

STOCKHOLM, den 7 juli 2010. Karo Bio AB (publ) (Reuters: KARO.ST) meddelade idag beslutet att initialt utveckla bolagets ledande blodfettssänkande läkemedelssubstans eprotirome för behandling av högriskpatienter med heterozygot familjär hyperkolesterolemi (HeFH).

”HeFH-patienter har ett stort medicinskt behov som är otillräckligt behandlat och det finns idag inga läkemedel på marknaden med HeFH-patienter som primär målgrupp. Vi har fått mycket positiv respons på detta indikationsval i avstämningar med ledande opinionsbildare, regulatoriska myndigheter i Europa och potentiella industriella samarbetspartners. Den väg vi nu väljer syftar till att föra eprotirome till marknaden till en rimlig utvecklingskostnad och med en begränsad risk.” säger Karo Bios VD Fredrik Lindgren.

HeFH är ett ärftligt tillstånd som medför att patienterna drabbas av mycket höga blodfettssnivåer redan i unga år. Prevalensen globalt uppskattas till mellan 1 på 350 och 1 på 500. Totalt bedömer Karo Bio att det finns cirka 3 miljoner patienter på mogna marknader och tillväxtmarknader, varav cirka 1 miljon patienter i EU. I nuläget är diagnostiseringsgraden (genom främst klinisk diagnos) av HeFH cirka 15 %, vilken förväntas öka väsentligt i takt med att existerande gentester och DNA-kartläggning får ökad utbredning. HeFH-patienter behandlas liksom andra dyslipidemipatienter med främst statiner. Endast cirka 20 % av patienterna bedöms uppnå sina behandlingsmål.

”Eftersom HeFH-patienter utgör en mindre patientgrupp med ett tydligt och underbehandlat medicinskt behov räknar vi med att kunna genomföra ett begränsat klinisk fas III-program. Vi inriktar oss inledningsvis på EU och har satt igång en process med europeiska läkemedelsverk. Våra kontakter med flera europeiska läkemedelsverk, och de internationella rekommendationer som finns på området, gör att vi räknar med att kunna göra ett fas III-program som omfattar hundratals patienter under 12-18 månader - jämfört med tusentals patienter under flera år för en bred primärvårdsindikation” säger Karo Bios VD Fredrik Lindgren.

Eprotirome (tidigare KB2115) har i flera kliniska fas II-studier visat sig ha en mycket intressant effektprofil beträffande blodfettssänkningar. Substansen har potential att tillgodose marknadens behov av nya innovativa läkemedel att ges i tillägg till statiner och andra existerande blodfettssänkare. Ytterst adresserar eprotirome ett globalt patientunderlag bestående av tiotals miljoner människor, för vilka statiner och andra blodfettssänkare inte räcker för att uppnå de av läkarna uppsatta behandlingsmålen. Detta är en läkemedelsmarknad som omsätter flera miljarder USD per år.

Avseende den medicinska riskpotentialen innebär detta emellertid också att eprotirome måste genomgå omfattande kliniska fas III-studier för att dokumentera dess säkerhet

innan den kan erhålla ett godkännande av myndigheterna, i synnerhet amerikanska FDA (*Food and Drug Administration*), för en så bred användning. För en bred primärvårdsindikation på den amerikanska marknaden kommer det sannolikt att krävas ett kliniskt prövningsprogram som omfattar flera tusen patienter under flera år, innebärande en betydande investering om hundratals miljoner USD.

Som en konsekvens av detta har Karo Bio uppdaterat sin övergripande strategi för att tydligare betona möjligheten att utveckla läkemedelssubstanser i bolagets projektportfölj först för nischindikationer, för att därefter, när läkemedlet etablerat sig på marknaden och ytterligare säkerhetsdata inhämtats, eventuellt ansöka om att få använda läkemedlet för bredare patientgrupper.

Beträffande HeFH återstår för Karo Bio att förankra prövningsplanerna på övergripande europeisk nivå hos EMA, vilket förväntas kunna ske under senare delen av 2010, men bolaget arbetar parallellt med detaljplaner och förberedande aktiviteter för att kunna starta det kliniska fas III-programmet under 2011.

”Bland annat bemannar vi projektet och har gjort några viktiga rekryteringar till vår kliniska organisation under andra kvartalet. Vi har också engagerat några mycket välrenommerade externa resurser, bland annat Steven E. Nissen som ordförande för det kliniska programmets styrkommitté och John J.P. Kastelein som *principal investigator*. Om allt går enligt planerna borde vi kunna lämna in dokumentation för ansökan om att få produkten registrerad i slutet av 2013 eller inledningen av 2014”, säger Fredrik Lindgren.

Steven E. Nissen är professor i medicin och ordförande för *Department of Cardiovascular Medicine* vid Cleveland Clinic i USA. John J.P. Kastelein är professor i medicin och ordförande för *Department of Vascular Medicine* på Academic Medical Center (AMC) i Amsterdam.

I finansiella termer innebär prioriteringen av HeFH att det kliniska fas III-programmet fram till en ansökan om registrering en investering som kan mätas i tiotals miljoner USD istället för de hundratals miljoner USD som en bred primärvårdsindikation skulle kräva. Hur stor Karo Bios egen investering blir är beroende av i vilken grad potentiella industriella samarbetspartners involveras. Avseende de potentiella intäkterna för läkemedlet när det kommer ut på marknaden räknar bolaget med att eprotirome kan bli ett läkemedel som enbart för indikationen HeFH globalt kan omsätta upp till en miljard USD på årsbasis. Karo Bio bedömer att det kommer att räcka med en begränsad marknadsorganisation för att erbjuda eprotirome till den specialistmarknad som behandlar HeFH-patienter.

”Åtminstone på några geografiska marknader är det realistiskt att tro att Karo Bio på egen hand kan marknadsföra produkten. Detta hindrar givetvis inte att vi tagit nya kontakter med potentiella industriella samarbetspartners, med HeFH-indikationen för EU marknaden som diskussionsföremål. I första hand vänder vi oss till parter med ett starkt intresse för den europeiska marknaden. Vi vänder oss också till parter på några andra geografiska marknader, exempelvis Indien. Syftet är då att finna en samarbetspartner som både har förmåga att genomföra en del av fas III-programmet på sin egen

marknad, innebärande att vår egen investering minskar, samt därefter marknadsföra produkten”, säger Fredrik Lindgren.

Det faktum att Karo Bio beslutat att inrikta de kommande kliniska fas III-studierna på en så kallad nischindikation innebär inte på något sätt att eprotiromes väg framåt för den breda indikationen skulle vara stängd.

”Vi kommer att fortsätta våra diskussioner med FDA parallellt med att vi nu går vidare med en konkret plan för EU och eventuellt något eller några andra territorier. Det finns inget som har ändrat vår uppfattning att eprotirome på sikt kan bli en bra och uppskattad tilläggsbehandling för polygenisk dyslipidemi. Vår bedömning av patentsituationen är att eprotirome har bra skydd åtminstone fram till år 2026, vilket innebär att vi har en hel del tid kvar att spela på”, säger Fredrik Lindgren.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Fredrik Lindgren, verkställande direktör
Mobil: 0705-61 61 77

Erika Söderberg Johnson, finansdirektör
Mobil: 0707-20 48 20

Informationen är sådan som Karo Bio kan vara skyldigt att offentliggöra enligt lagen om värdepappersmarknaden och/eller lagen om handel med finansiella instrument. Informationen lämnades för offentliggörande den 7 juli 2010 kl.08:30.

Om Karo Bio

Karo Bio är ett forsknings- och utvecklingsbolag som specialiserat sig på endokrinologi och kärnreceptorer som målprotein för utveckling av nya läkemedel. Företaget har en projektportfölj med innovativa läkemedelssubstanser primärt inom kardiovaskulära, CNS-relaterade och inflammatoriska sjukdomar samt kvinnosjukdomar. Inom dessa områden finns det betydande marknadsmöjligheter och ett tydligt behov av läkemedel med nya verkningsmekanismer. Karo Bio har kapacitet att ta utvalda substanser inom terapeutiska nischområden till sen klinisk utvecklingsfas och eventuellt hela vägen till registrering, medan substanser avsedda för breda patientgrupper avses att licensieras ut senast när *proof-of-concept* erhållits i kliniska fas II-studier. Utöver egna projekt har Karo Bio tre strategiska samarbeten med internationella läkemedelsföretag för utveckling av innovativa behandlingar av vanligt förekommande sjukdomar.

Karo Bio är noterat på NASDAQ OMX Stockholm sedan 1998 (Reuters: KARO.ST).

Detta pressmeddelande finns också tillgängligt på: www.karobio.se och www.newsroom.cision.com