

Faron Pharmaceuticals julkaisi ensimmäisiä faasin II tuloksia leukemiapotilailla – vahvistavat aiemmat lupaavat faasi I tulokset, BEXMAB-tutkimuksessa hoidetuista MDS-potilaista 79 % sai kliinisen hyödyn

Faron Pharmaceuticals julkaisi lisää erinomaisia tuloksia kokeellisesta *bexmarilimab*-tutkimuslääkkeestä verisyövän hoidossa. Nämä ensimmäiset faasin II tulokset vahvistavat tutkimuksen ensimmäisessä vaiheessa saatuja positiivisia tuloksia *bexmarilimab*-täsmäimmunoterapian tehosta useisiin pahanlaatuisiin hematologisiin kasvaimiin eli verisyöpiin. Tutkimuksessa pidempään hoidettujen MDS-potilaiden hoitovasteet ovat säilyneet pääosin hyvinä ja elinajanodote on pidentynyt huomattavasti odotetusta.

BEXMAB-tutkimuksessa *bexmarilimabia* annetaan sekä akuutin myeloosien leukemian (AML) että myelodysplastisen syndrooman (MDS) hoitoon potilailla, jotka ovat saaneet ensilinjan hoitoa tai eivät ole saaneet apua nykyisestä standardihoidosta (r/r, refractory). Hoitoon reagoimattoman MDS:n (r/r MDS) osalta tutkimus on edennyt faasiin II.

Tutkimuksessa havaittiin jo aikaisemmin merkittävä objektiivinen vasteprocentti (ORR), kun kahdeksasta aikaisempaan hoitoon reagoimattomasta MDS-potilasta seitsemän sai vasteen (87,5 %). Nyt yhdistelmähoitoa on annettu 14 potilaalle, jotka eivät ole reagoineet aikaisempaan hoitoon. Potilaat ovat sietäneet yhdistelmähoitoa hyvin, eikä annostusta rajoittavaa toksisuutta ole havaittu. Objektiivinen vasteprocentti näillä potilailla, joille ei ole tehokkaita hoitovaihtoehtoja enää tarjolla, on 79 prosenttia (11/14).

Samankokoisilla potilasryhmillä, joita on altistettu uudestaan hypometyloivalle aineelle (HMA) tai hoidettu kemoterapialla tai hydroksiurealla, on raportoitu 0–20 prosentin objektiivinen vasteprocentti ilman syvää ja kestävästä remissiota.

Parhaat vasteet 14 potilaan tutkimusryhmässä:

- 1 täydellinen remissio (CR, complete remission)
- 7 täydellistä luumyelinremissiota (cMR, marrow complete remission)
- 1 osittainen remissio (PR, partial remission)
- 2 hematologista paranemista eli veriarvojen korjaantumista
- 2 vakaata, ei-etenevää tautitilannetta

Kaksi potilasta on remission ansiosta saanut luuydinsiirron, mikä voi johtaa lopulliseen parantumiseen. Tämä on harvinaista r/r MDS-potilailla, jotka eivät yleensä saavuta remissiota. Faasin I potilailla, joille on kertynyt pidempi seuranta-aika, kokonaiselossaoloajan mediaani (mOS, median overall survival) on tällä hetkellä 13,4 kuukautta, kun se yleensä näille potilaille on vain 5,6 kuukautta. Seuranta on kuitenkin vielä kesken ja luku voi muuttua.

– Suuremman riskin MDS-potilaiden hoito on hyvin haastavaa ja vaihtoehtoja on hyvin rajallisesti, jos HMA-hoito epäonnistuu. Tämä onkin tällä hetkellä yksi merkittävimmistä kliinisistä tarpeista, joita MDS-taudin hoidossa on. *Bexmarilimab* on lupaava aine, joka aktivoi immuunijärjestelmää. Meneillään olevan tutkimuksen ensimmäisten tulosten mukaan sillä näyttää olevan erittäin hyvä turvallisuusprofiili ja lupaava kliininen teho, erityisesti mitä tulee HMA-hoidon epäonnistumisen jälkeiseen kokonaisuolossaoloajan mediaaniin. Vaikka tulokset ovatkin vasta ensimmäisiä ja koskevat vain pientä potilasjoukkoa, voidaan *bexmarilimabin* avulla mahdollisesti täydentää merkittävällä tavalla MDS-potilaiden hoitoa, jos tulokset jatkossakin säilyvät hyvinä, sanoo tutkimuksen johtava tutkija Yalen yliopistosta **Amer Zeidan** (*Associate Professor of Medicine, Chief of Hematologic Malignancies Division, Director of Hematology Early Therapeutics Research, and leader of the clinical program and the Clinical Research Team for Leukemia and Myeloid Malignancies at Yale Cancer Center*).

– MDS-potilailla, jotka eivät ole saaneet apua nykyisestä standardihoidosta, on valtava tarve uusiin hoitovaihtoehtoihin. Monet ovat odottaneet, millaisiksi faasin II tulokset muodostuvat, ja olen iloinen nähdessäni, että tulokset vahvistavat sen, mitä näimme jo faasissa I. Nyt pidetään pää kylmänä ja keskitytään tarvittaviin toimiin, jotta tuote saadaan markkinoille ja potilaiden käyttöön mahdollisimman nopeasti, sanoo Faronin toimitusjohtaja **Juho Jalkanen**.

Lisätietoja:

Faron järjestää englanninkielisen virtuaalisen webinaarin uusista tuloksista keskiviikkona 22.5. klo 17.00. Tilaisuuteen voi rekisteröityä osoitteessa <https://faron.videosync.fi/bexmab-study-update-may2024>. Lisätietoja saa ottamalla yhteyttä osoitteeseen investor.relations@faron.com.

[Initial positive data from Phase 2 of BEXMAB \(investis.com\)](https://investis.com) Yhtiön englanninkielinen tiedote 20.5.2023 klo 09.00

Juho Jalkanen, toimitusjohtaja, Faron Pharmaceuticals Oy, puh. +358 40 707 1046

Yleistä *bexmarilimabista*

Bexmarilimab on Faronin omistama patenttisuojattu uusi syövän täsmäimmunoterapia, joka valjastaa ihmisen oman immuunijärjestelmän syövän hoitoon palauttamalla potilaan oman vaimennetun immuunivasteen syöpää vastaan. *Bexmarilimab* on humanisoitu monoklonaalinen IgG4-vasta-aine, mikä sitoutuu lymfaattisen endoteeli- ja verisuonten endoteelireseptori-1:n (Clever-1), joka on makrofagien signaalintipiste (checkpoint). Korkea Clever-1:n-ilmentyminen liittyy terapeuttiseen resistenssiin ja huonoihin hoitotuloksiin monessa syövässä. *Bexmarilimab* muuttaa Clever-1 positiivisten makrofagien toimintaa, jotta makrofagi voi tappaa mikro-organismeja ja elimistölle vieraita aineita kuten syöpää. AML-luuydinsolujen *ex vivo* -hoito *bexmarilimabilla* yksinään tai yhdessä atsisitidiinin/venetoklaksin kanssa lisää antigeenin esiintymistä, indusoi proinflammatoristen sytokiiniin erittymistä (signaaliproteiineja, jotka auttavat kontrolloimaan tulehdusta kehossa) ja lisää T-solujen aktivaatiota, mikä mahdollistaa syövän eliminoinnin.

Faron Pharmaceuticals Oy

Faron Pharmaceuticals Oy (AIM: FARN, First North: FARON) on kliinisen vaiheen biolääkeyritys, joka keskittyy rakentamaan immunoterapian tulevaisuutta hyödyntämällä immuunijärjestelmän voimaa syövän hoidossa. *Bexmarilimab*, uusi anti-Clever-1 humanisoitu vasta-aine, joka voi poistaa syöpien immunosuppression muuttamalla myeloidisolujen toimintaa. *Bexmarilimabia* tutkitaan faasin I/II kliinisissä tutkimuksissa hoitona

hematologisia syöpiä sairastaville potilaille muiden standardihoitojen kanssa sekä monoterapiana kiinteisiin kasvaimiin. Faronin pääkonttori sijaitsee Turussa. Lisätietoja on osoitteessa www.faron.com.