



Til NASDAQ OMX Copenhagen A/S  
Meddelelse nr. 03-14 / København, 26. marts 2014

**Topotarget A/S**  
Symbion  
Fruebjergvej 3  
2100 København Ø  
Danmark  
Tlf.: +45 39 17 83 92  
E: enquiries@topotarget.com  
CVR-nr.: 2569 5771  
[www.topotarget.com](http://www.topotarget.com)

## **Topotarget bekræfter modtagelsen af milepælsbetaling vedrørende ansøgningsaccept**

**Topotarget A/S bekræfter hermed at have modtaget milepælsbetalingen på USD 10 mio. og 1 mio. aktier fra Spectrum Pharmaceuticals, Inc. vedrørende den nylige accept fra de amerikanske sundhedsmyndigheder (FDA) af registreringsansøgningen for Beleodaq™ (belinostat) til behandling af perifert T-celle lymfekræft (PTCL).**

### **Modtaget milepælsbetaling**

Den 6. februar 2014 meddelte Topotarget, at FDA havde accepteret registreringsansøgningen (NDA) for belinostat til behandling af recidiverende eller resistent PTCL. Accepten af ansøgningen udløste en milepælsbetaling til Topotarget på USD 10 mio. samt 1 mio. aktier, med en aktuel værdi på ca. USD 8 mio., fra den amerikanske samarbejdspartner Spectrum Pharmaceuticals. Beløbet på USD 10 mio. er modtaget, og aktierne i Spectrum Pharmaceuticals forventes solgt inden for en ikke-oplyst periode.

### **Priority Review-status for Beleodaq**

FDA har vurderet, at Beleodaq potentielt kan dække et udækket behandlingsbehov blandt patienter med recidiverende eller resistent PTCL og dermed har potentialet til at bidrage med et væsentligt fremskridt i den medicinske behandling. Af denne grund har Beleodaq fået tildelt Priority Review-status. Når et lægemiddel får tildelt Priority Review-status, forventes evalueringsprocessen at være på seks måneder fra datoen for accepten (meddelt den 6. februar 2014), mens et Standard Review normalt tager 10 måneder.

FDA har angivet den 9. august 2014 som beslutningsdato. Senest på denne dato forventer vi at modtage feedback fra FDA vedrørende godkendelse af registreringsansøgningen for Beleodaq.

### **Næste milepæl i 2014**

En yderligere kontant milepælsbetaling på USD 25 mio. fra Spectrum Pharmaceuticals udløses ved en godkendelse af registreringsansøgningen. Ved en godkendelse vil Topotarget endvidere være berettiget til at modtage potentielle royalties og salgsmilepæle.

### **Uændrede resultatforventninger**

Denne selskabsmeddelelse ændrer ikke ved resultatforventningerne til 2014 som udmeldt den 6. februar 2014.

### **Topotarget A/S**

For yderligere oplysninger kontakt venligst:  
Anders Vadsholt, CEO – direkte: +45 39178345

### **Baggrundsoplysninger**

#### **Om Topotarget**

Topotarget (NASDAQ OMX: TOPO) er et skandinavisk biofarmaceutisk selskab med hovedsæde i København. Selskabet beskæftiger sig med klinisk udvikling og registrering af onkologiprodukter. Topotarget fokuserer i samarbejde med Spectrum Pharmaceuticals, Inc. på udviklingen af dets førende lægemiddelkandidat, Beleodaq™, som har vist positive resultater i behandling af blodkræftsygdomme og

Topotarget bekræfter modtagelsen af milepælsbetaling vedrørende ansøgningsaccept

solide kræfttumorer opnået ved både enkeltstof- og kombinationsbehandling. For yderligere oplysninger henvises til [www.topotarget.com](http://www.topotarget.com).

#### **Om Beleodaq**

Beleodaq er en ny pan-HDAC (histondeacetylase)-hæmmer, og mere end 1.100 patienter er blevet behandlet med lægemiddelstoffet. Beleodaq har en favorabel sikkerhedsprofil, som kan give mulighed for at kombinere stoffet med traditionel kemoterapi. Prækliniske forsøg har vist, at Beleodaq kan have effekt i behandlingen af flere kræftformer ved at hæmme celledeling og fremkalde programmeret celledød (apoptose) i kræftceller. Beleodaq er blevet afprøvet i en række kliniske fase I/II-studier vedrørende blodkræftsygdomme og solide tumorer i enkeltstof- og kombinationsbehandling. Data fra disse studier indikerer, at Beleodaq viser antitumor-effekt, herunder som enkeltstofbehandling af perifert T-celle lymfekræft (PTCL), kutant T-celle lymfekræft (CTCL) og leverkræft og som kombinationsbehandling af bløddelssarkom og tymom.

#### **Om BELIEF-studiet**

Rekrutteringen af patienter til det pivotale studie med Beleodaq til behandling af R/R PTCL blev afsluttet i september 2011, efter at 129 patienter var blevet inkluderet. Endelige data, som blev præsenteret på årsmødet i American Society of Clinical Oncology (ASCO) i 2013, viste en objektiv responsrate (ORR) på 26 % i alle PTCL patienter, 28 % i PTCL-patienter med blodpladetal på over 100.000/ $\mu$ L, og 45,5 % i patienter med PTCL-subtypen Angioimmunoblastisk T-celle Lymfekræft (AITL). De sikkerhedsdata, der blev præsenteret på T-Cell Lymphoma Forum i 2013, viste en favorabel sikkerhedsprofil for Beleodaq i sammenligning med godkendte behandlinger for patienter med PTCL, og det blev fastslået, at det formentlig er muligt at kombinere Beleodaq og cytotoxiske behandlinger. Beleodaq synes at have lav myelosuppression, og selv patienter med ringe knoglemarvsreserve tolererede Beleodaq godt.

#### **Om BelCHOP-studiet**

BelCHOP-studiet er designet til at fastlægge, hvilken dosis af kombinationen Beleodaq og CHOP man sikkert kan administrere som førstelinjebehandling af patienter med PTCL. Formålet er endvidere at fastsætte den anbefalede dosis til et umiddelbart efterfølgende bekræftende fase III-studie. Studiet til fastlæggelse af BelCHOP-dosis forventes at indrullere op til 28 patienter inden 4. kvartal 2014. Det bekræftede fase III-studie forventes igangsat i 1. halvår 2015.

#### **Topotarget Safe Harbor Statement**

Denne meddelelse kan indeholde fremadrettede udsagn, herunder udsagn om Topotarget A/S' forventninger til udviklingen af selskabets kliniske pipeline samt med hensyn til forventet likviditetsforbrug. Sådanne udsagn er forbundet med risici og usikkerhed, hvoraf mange ligger uden for Topotarget A/S' kontrol, og kan medføre, at de opnåede resultater afviger væsentligt fra de beskrevne. Topotarget A/S har ingen hensigt om og påtager sig ingen forpligtelse til at opdatere eller ændre fremadrettede udsagn, hverken som følge af fremkomsten af nye oplysninger, fremtidige begivenheder eller på anden måde, medmindre dansk lovgivning kræver det.