

Fondsbørsmeddelelse nr. 7/2014
Til NASDAQ OMX Copenhagen A/S

Exiqon A/S
Skelstedet 16
2950 Vedbæk
Denmark

Phone: +45 4566 0888
Fax: +45 4566 1888
exiqon@exiqon.com
www.exiqon.com
CVR/Tax Id: 18 98 44 31

12. september 2014

Forbedret identifikation af højrisiko patienter med stadie II tyktarmskræft

Exiqon A/S (NASDAQ OMX Copenhagen: "EXQ") annoncerede i dag offentliggørelsen af data fra et populationsstudie med 554 patienter med stadie II tyktarmskræft, som under anvendelse af selskabets patenterede miRCURY LNA™ Universal RT microRNA PCR platform validerer den prognostiske værdi af microRNA-21 baseret på vævssnit fra formalin fikserede paraffin indstøbte tumor stykker (FFPE prøver). Endepunktsmålingerne var overordnet overlevelse (overall survival - OS) og residiv-fri cancer specifik overlevelse (recurrence free cancer specific survival - RF-CSS).

Studiets resultat understøtter, at microRNA-21 er en uafhængig prognostisk biomarkør for RF-CSS i en populationsbaseret kohorte af patienter med stadie II tyktarmskræft, som fik foretaget kirurgisk indgreb. Måling af microRNA-21 niveauer var baseret på qPCR analyse af microRNA-21 i standard FFPE prøver hvor tilstedeværelse af et højt microRNA-21 niveau var associeret med en ugunstig RF-CSS. Det kryds-validerede areal under kurven (Receiver Operator Curve – ROC) for 1- og 5-års RF-CSS var henholdsvis 0,67 og 0,68. Resultaterne er nu offentliggjort i British Journal of Cancer

Dette studie konfirmerer resultater fra et tidligere studie, offentliggjort i British Journal of Cancer i 2012, for den samme kohorte af patienter under anvendelse af selskabets patenterede LNA™ baserede *in situ* hybridisering til analyse af microRNA-21 niveauer. Det tidligere studie viste, at patienter med høje niveauer af microRNA-21 havde signifikant dårligere RF-CSS, hvilket indikerer at microRNA-21 analyse bør overvejes som et potentielt supplement i stratificering af højrisiko stadie II tyktarmskræft patienter.

Det nye studie undersøgte den prognostiske værdi af en qPCR baseret måling af microRNA-21 niveauer i standard FFPE stadie II tumor prøver i kombination med et almindeligt anvendt panel af prognostiske biomarkører, med henblik på at generere et individuelt risikoindeks i patienter med stadie II tyktarmskræft. Individuelle biomarkører har muligvis ikke styrke nok til at stå alene i identifikationen af klinisk relevante risikogrupper i en kohorte af patienter, hvor størstedelen allerede er kureret med et kirurgisk indgreb og har en relativ god prognose. Derfor var målet med indekismetoden at styrke eksisterende markører ved, at kombinere disse almindeligt anvendte biomarkører med den molekylært baserede biomarkør, microRNA-21, for herved at opnå en klinisk mere robust stratificering.

Studiets resultat indikerer, at introduktion af et risikoindeks indeholdende microRNA-21 med henblik på stratificering af patienter med stadie II tyktarmskræft kan føre til identifikation af en betydeligt mindre gruppe af højrisiko patienter (23% af højrisiko patienterne), end de almindeligt anvendte risikoparametre (77% af patienterne). Dette tyder på, at man kan spare en stor del af patienterne



for unødvendig og skadelig adjuverende kemoterapi. Det foreslåede risikoindeks klassificerer patienter korrekt (høj eller lav risiko) med en sandsynlighed på ca. 70%. Det krydsvaliderede areal under kurven (Area Under Curve – AUC) for det RF-CSS indeks ved 1- og 5-år var henholdsvis 0,714 and 0,667.

Identifikationen af højrisiko patienter er et første skridt i en mulig stratificering af patienter til adjuverende terapi. Det aktuelle studie adresserer ikke om højrisiko patienter med øget microRNA-21 niveau også vil have gavn af adjuverende terapi. Den mulige prædiktive evne af microRNA-21 i forhold til identifikationen af højrisiko patienter, som vil have gavn af adjuverende kemoterapi vil kræve yderligere opklaring i en klinisk kontekst.

Med offentliggørelsen af det aktuelle microRNA-21 studie, fremstår det klart at microRNA-21 besidder uafhængig prognostisk værdi, som i kombination med mere almindeligt anvendte biomarkører kan forbedre identifikation af højrisiko patienter. Dette er et skridt fremad imod bedre behandlingsvalg af stadie II tyktarmskræft patienter, som måtte have gavn af, at blive identificeret som egnede til at modtage kemoterapi. Exiqon vil fortsætte med lanceringen af microRNA-21 testen som et RUO (Research Use Only) kit for at muliggøre yderligere afprøvning og på sigt klinisk inkorporering af microRNA-21 sammen med andre biomarkører for at generere en residiv test for tyktarmskræft. Lancering er planlagt senere i 2014.

Yderligere information

Lars Kongsbak, adm. direktør, tlf. +45 4566 0888 (mobil: +45 4090 2101)

Om Exiqon

Exiqon har aktiviteter inden for to forretningsområder: Exiqon Life Sciences har etableret sig som en af markedets ledende leverandører af forskningsprodukter til analyse af microRNA. Exiqon Diagnostics udvikler nye molekylærdiagnostiske test til brug for stratificering af patienter, i kliniske forsøg, og tidlig opdagelse af sygdomme, som kan hjælpe læger med at stille tidlige og præcise diagnoser og vælge den bedst mulige behandling til den enkelte patient baseret på RNA profilering. Exiqon er noteret på NASDAQ OMX i København. Du kan få mere at vide om selskabet på www.exiqon.com.

