



THE ORPHAN ONCOLOGY INNOVATOR

Onxeo offentliggør udviklingsplan for det innovative signal-interfererende DNA-produkt AsiDNA

Forventelige milepæle på kort og langt sigt

Paris (Frankrig), København (Danmark), 27. juni 2016 – Onxeo S.A. (Euronext Paris, Nasdaq Copenhagen: ONXEO, "Selskabet"), et innovativt selskab med speciale i udvikling af lægemidler til behandling af sjældne kræftsygdomme, har i dag offentliggjort dets plan for videreudviklingen af AsiDNA, Selskabets innovative signal-interfererende DNA-molekyle, som bryder cyklussen med tumor-DNA-reparation for at inducere celledød.

I marts 2016 afsluttede Onxeo opkøbet af DNA Therapeutics for dets vigtige og innovative teknologiplatform for DNA-reparationshæmning og primære lægemiddelstof, AsiDNA. Efter opkøbet har Onxeo foretaget en strategisk vurdering af udviklingsmulighederne og lancerer nu en alsidig og omfattende udviklingsplan for sit nyeste stof både som enkeltstofbehandling og i kombination med andre kræftbehandlingsmidler.

AsiDNA: Innovativt signal-interfererende DNA-reparationsstof med blockbuster-potentiale

Onxeos signal-interfererende DNA (siDNA) produktkandidat AsiDNA er et kort, dobbelt-strengt DNA-molekyle, som bryder cyklussen med tumor-DNA-reparation ved at interferere ved kernen af DNA-beskadigelsen og blokere multiple reparationspathways og samtidig undgå at ramme de raske celler. AsiDNA og dets signal-interfererende teknologi giver potentielt nye behandlingsvalg for patienter, som lider af forskellige former for kræft.

Denne teknologi har allerede vist en stigning i behandlingseffekten af stråleterapi¹, radiofrekvensablation² og kemoterapi³ i en lang række prækliniske dyremodeller, hvilket gør stoffet til en lovende lægemiddelkandidat både som enkeltstof- og kombinationsbehandling. I et "først-i-mand" fase I/IIa-studie⁴ (DRIIM) i patienter med metastatisk modermærkekræft er det yderligere vist, at AsiDNA-molekyler viser god tolerabilitet og sikkerhed, når stoffet administreres direkte i tumoren og subkutant omkring tumorerne uden tegn på inflammatoriske fænomener. Resultater fremvist på ASCO 2015⁵ viste på basis af 23 patienter en objektiv responsrate (ORR) på 59 % og en komplet responsrate (CR) på 30 % sammenlignet med en CR på 10 % alene med stråleterapi⁶.

¹ Quanz et al., 2009, Berthault et al., 2011, Coquery et al., 2012, Biau et al., 2014

² Devun et al., 2014

³ Devun et al. 2011, Herath et al., 2016

⁴ DRIIM Phase 1/2a trial, "DNA Repair Inhibitor & Irradiation on Melanoma" NCT01469455)

⁵ Abstract available at <http://meetinglibrary.asco.org/content/143029-156>

⁶ Baseret på data fra litteraturen.

Udviklingsplan med fokus på systemisk indgivelse

Præklinisk: Baseret på disse første, lokale, positive resultater samt lovende udfald af prækliniske forsøg igangsætter Onxeo udviklingen af AsiDNA med fokus på systemisk indgivelse og udnytter dermed stoffets potentiale som behandling af en lang række kræftindikationer. Der er indledt prækliniske programmer for yderligere at fastlægge den farmakokinetiske/farmakodynamiske profil efter intravenøs indgivelse. Resultaterne forventes i 3. kvartal/4. kvartal 2016.

Fremstilling: Sideløbende hermed samarbejder Selskabet med et af USA's førende produktionsanlæg til komplekse medicinalprodukter med henblik på at optimere fremstillingsprocessen for AsiDNA. Det overordnede mål er at optimere omkostningerne og produktionstiden for en fremtidig klinisk udvikling i stor skala og kommercialisering. De første resultater af denne procesudvikling ventes at foreligge i 4. kvartal 2016.

Klinisk: På baggrund af den store viden, der allerede er opbygget, samt ovennævnte forsøgsresultater undersøger Onxeo mulighederne for at fremrykke den kliniske udvikling af AsiDNA, og Selskabet arbejder på at påbegynde det første kliniske studie allerede i 2017 for at evaluere sikkerhed og de første tegn på kræftbehandlingseffekt af AsiDNA som systemisk indgivet enkeltstofbehandling.

Judith Greciet, Onxeos administrerende direktør, udtaler: *“Vi har lagt en ambitiøs plan for AsiDNA med henblik på at påvise stoffets værdi i en lang række kræftformer via systemisk indgivelse. I denne plan er det målet af fremskynde udviklingen og præsentere prækliniske data inden for det næste halve år og indlede kliniske studier umiddelbart derefter. De første kliniske data for systemisk indgivet AsiDNA repræsenterer et vigtigt skridt i vores udviklingsstrategi, da disse resultater potentielt kan bekræfte produktets enorme potentiale. Signal-interfererende DNA-reparationsteknologi er hurtigt ved at blive et af de mest innovative forskningsområder, og sådanne data allerede i 2017 vil kunne understøtte en stor værdiskabelse for AsiDNA – for patienterne og for Onxeo som selskab.”*

Forventet nyhedsstrøm for AsiDNA

3. kvartal/4. kvartal 2016:	Resultater fra præklinisk forsøg med AsiDNA
4. kvartal 2016:	Optimering af fremstillingsproces
2017:	Påbegyndelse af klinisk studie med AsiDNA som enkeltstofbehandling

Om Onxeo

Onxeo er førende inden for udvikling af lægemidler til behandling af sjældne kræftsygdomme. Selskabet fokuserer på udvikling af innovative lægemidler til sjældne kræftsygdomme, som er et af de hurtigst voksende markeder i sundhedsbranchen, hvor der er et stort uækket behandlingsbehov. Onxeos omfattende portefølje består af en bred pipeline af fire uafhængige lægemiddelkandidater på forskellige kliniske udviklingsstadier til behandling af sjældne (orphan) kræftsygdomme: Tre uafhængige programmer er i den fremskredne kliniske udviklingsfase, herunder Onxeos første godkendte orphan-kræftmiddel, Beleodaq®. Derudover har Onxeo udviklet og registreret to produkter til andre sygdomme end kræft, som i øjeblikket kommercialiseres i USA og Europa. Onxeos vision er at blive en global leder og pioner inden for kræft med fokus på sjældne kræftsygdomme gennem udvikling af avancerede, effektive og sikre lægemidler, som forbedrer patienternes liv. Selskabet har hovedsæde i Paris, Frankrig, og har omkring 50 ansatte. Onxeo er noteret på Euronext i Paris, Frankrig (symbol: ONXEO, ISIN-kode: FR0010095596) og Nasdaq Copenhagen, Danmark (symbol: ONXEO).

Produkter til behandling af sjældne kræftsygdomme:

- **Livatag®** (Doxorubicin Transdrug™): Evalueres i øjeblikket i et fase III-studie (ReLive) i patienter med hepatocellulært karcinom (primær leverkræft) og i kombination med andre kræftbehandlingsmidler som førstelinjebehandling af primær leverkræft
- **Beleodaq®** (belinostat): Godkendt af FDA i USA i 2014 under myndighedernes program med fremskyndet godkendelse som andenlinjebehandling af patienter med perifert T-celle lymfekræft (PTCL) og markedsføres i

øjeblikket af Onxeos samarbejdspartner i USA, Spectrum Pharmaceuticals. Belinostat i kombination med andre kræftbehandlingsmidler udvikles i øjeblikket som førstelinjebehandling af patienter med PTCL (BelCHOP) og i andre solide tumorer

- **AsiDNA:** Det innovative siDNA (signal-interfererende DNA), som succesfuldt har gennemgået et fase I/IIa "Proof-of-Concept"-studie i metastatisk modermærkekræft
- **Validive®** (clonidin Lauriad®): Positive endelige resultater fra et fase II-studie med patienter med hoved-halskræft med svær oral mucositis

For yderligere oplysninger henvises til www.onxeo.com.

Hvis du ønsker at modtage vores pressemeddelelser og nyhedsbreve, kan du tilmelde dig her:

<http://www.onxeo.com/en/newsletter/>

Følg os på Twitter: @Onxeo_

Disclaimer

Denne meddelelse indeholder udtrykkeligt eller underforstået visse fremadrettede udsagn vedrørende Onxeo og dette selskabs aktiviteter. Sådanne udsagn er forbundet med visse kendte og ukendte risici, usikkerheder og andre faktorer, der kan bevirke, at Onxeos faktiske resultater, finansielle stilling, udvikling eller præstationer afviger væsentligt fra de fremtidige resultater, udviklingen eller præstationerne, der er udtrykt eller underforstået i forbindelse med disse fremadrettede udsagn. Onxeo afgiver denne meddelelse pr. dags dato og forpligter sig ikke til at opdatere eventuelle fremadrettede udsagn heri som følge af nye oplysninger, fremtidige begivenheder eller andet. For en gennemgang af risici og usikkerheder, som kan bevirke, at Onxeos faktiske resultater, finansielle stilling, udvikling eller præstationer afviger fra dem, der er indeholdt i de fremadrettede udsagn, henvises til afsnittet Risikofaktorer ("Facteurs de Risque") i 2015 Reference Document indsendt til AMF den 29. april 2016, som er tilgængeligt på AMF's hjemmeside (<http://www.amf-france.org>) eller på Selskabets hjemmeside (www.onxeo.com).

Kontakt:

Judith Greciet, administrerende direktør
Nicolas Fellmann, CFO
contact@onxeo.com
+33 1 45 58 76 00

Caroline Carmagnol /Florence Portejoie – Alize RP (France)
onxeo@alizerp.com
+33 6 64 18 99 59 / +33 6 47 38 90 04

Kirsten Thomas / Lee Roth – The Ruth Group (USA)
kthomas@theruthgroup.com / lroth@theruthgroup.com
+1 508 280 6592 / +1 646 536 7012