

Cereno Scientific aktiverar första studiecentret i globala Fas IIb-studien EPIMODE med CS1 i PAH – patientrekrytering kan nu inledas

Cereno Scientific (Nasdaq First North: CRNO B), ett innovativt bioteknikbolag som utvecklar behandlingar för att förbättra och förlänga livet för personer med sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar, meddelar idag att det första studiecentret har aktiverats i den globala Fas IIb-studien EPIMODE, som utvärderar bolagets ledande läkemedelskandidat CS1 vid pulmonell arteriell hypertension (PAH). De omfattande studieförberedelserna omsätts nu i kliniskt genomförande på centernivå, och det första EPIMODE-centret är operativt godkänt att inleda screening och rekrytering. Detta är ett konkret steg mot randomisering och dosering av den första patienten och lägger grunden för att rekryteringskapaciteten successivt kan byggas ut när ytterligare specialistcenter inom PAH aktiveras.

Potentiella studiedeltagare kan nu påbörja screeningprocessen, där de utvärderas mot studiens inklusions- och exklusionskriterier och, om de uppfyller dessa, kan gå vidare till randomisering och första dosering. Ytterligare regulatoriska och lokala förberedelser, myndighetsansökningar och aktivering av studiecenter kommer att fortsätta inom det planerade globala studienätverket. I takt med att ytterligare specialistcenter inom PAH aktiveras förväntas rekryteringskapaciteten öka i det globala nätverket, vilket möjliggör att identifiering, screening och efterföljande randomisering av patienter kan ske vid ett växande antal center. Topline-resultat förväntas under det fjärde kvartalet 2028, baserat på den planerade tidslinjen för rekrytering.

”Aktiveringen av det första studiecentret är ett viktigt operativt steg som möjliggör att patientscreening kan inledas i EPIMODE-studien. Trots viktiga framsteg inom behandlingen av PAH finns det fortfarande ett behov av behandlingar som går längre än att hantera symtom och hemodynamik och som riktar in sig på de underliggande sjukdomsmekanismerna. Med EPIMODE vill vi på ett rigoröst sätt utvärdera om CS1:s epigenetiska angreppssätt kan bidra till nästa steg i behandlingsutvecklingen. Med de lovande observationerna från vår Fas IIa-studie och vårt Expanded Access Program som grund är studien utformad för att inte bara utvärdera effekt och dosrespons, utan också för att fördjupa vår förståelse av CS1:s sjukdomsmodifierande potential. Det starka engagemanget från de deltagande PAH-prövarna under vårt prävmöte stärker vår övertygelse om att detta är en viktig vetenskaplig frågeställning för området”, sade Rahul Agrawal, CMO och Head of R&D på Cereno Scientific.

Från studieförberedelser till aktivt genomförande

Sedan FDA i december 2025 gav klartecken för att inleda Fas IIb-studien har Cereno Scientific tillsammans med sin kontraktsforskningsorganisation (CRO) och övriga partners som stödjer studieuppstarten genomfört ett intensivt, kontinuerligt och välkoordinerat arbete för att slutföra det omfattande regulatoriska, avtalsmässiga, logistiska och centerrelaterade arbetet som krävs för att möjliggöra aktiv patientrekrytering i EPIMODE-studien.

För varje deltagande studiecenter omfattar arbetet regulatoriska och etiska godkännanden, avtal med studiecenter, introduktion och utbildning av provare, logistik för studieläkemedel och laboratorier, etablering av datasystem samt bekräftelse på att deltagande center är godkända och operativt redo att identifiera, screena och randomisera potentiella patienter. Många av dessa aktiviteter måste genomföras i en viss ordningsföljd på respektive center innan patientrekryteringen kan inledas.

Aktiveringen av det första studiecentret visar att de omfattande studieförberedelserna framgångsrikt har omsatts i operativ klinisk kapacitet. Samtidigt fortsätter förberedelser och aktiveringsaktiviteter vid de planerade studiecentren inom det globala studienätverket. I takt med att ytterligare center aktiveras kommer identifiering, screening, randomisering och behandling av patienter successivt att öka.

Det är i detta skede som det omfattande arbete som genomförts sedan Fas IIa-studien slutfördes, inklusive ett Type C-möte med FDA, protokollutveckling och erhållandet av Fast Track-status, börjar omsättas i genomförandet av studien.

Rent praktiskt innebär detta att det första aktiverade studiecentret nu är godkänt och redo att påbörja identifiering och screening av potentiella patienter för deltagande i EPIMODE-studien. Detta är det första steget i att etablera rekryteringskapacitet inom EPIMODE-studiens globala nätverk av studiecenter och för studien närmare randomisering och dosering av den första patienten.

Förberedelser och genomförande med stöd av en ledande global CRO

Efter en omfattande upphandlingsprocess valde Cereno Scientific en ledande global kontraktsforskningsorganisation (CRO) med gedigen erfarenhet av kliniska studier inom PAH. CRO:n bidrar med djup expertis inom PAH, ett etablerat nätverk av erfarna provare, tillgång till välkarakteriserade patientpopulationer samt den globala infrastruktur som krävs för att genomföra en studie av EPIMODE:s omfattning.

Denna expertis är särskilt viktig inom en sällsynt sjukdom som PAH, där ett framgångsrikt genomförande av studien bygger på att identifiera specialistcenter med relevant klinisk kompetens, tillgång till lämpliga patienter och den operativa erfarenhet som krävs för att screena, randomisera, behandla och följa upp patienter i enlighet med studieprotokollet.

EPIMODE stöds även av professor Marc Humbert, en av världens ledande experter inom PAH, med flera decenniers erfarenhet av patientvård, klinisk forskning och utveckling av internationella behandlingsriktlinjer. Han är studiens huvudprövare (Principal Investigator, PI) och ordförande i dess Clinical Steering Committee, som även består av internationellt erkända experter inom PAH och kardiovaskulär sjukdom och som ger vetenskaplig vägledning och stöd under studiens genomförande.

Tillsammans med CRO:n genomför Cereno en centerstrategi som prioriterar erfarna PAH-center med god tillgång till patienter och hög rekryteringspotential. Målet är att säkerställa ett kliniskt genomförande av hög kvalitet där rekryteringskapaciteten successivt ökar i takt med att ytterligare studiecenter aktiveras.

EPIMODE:s kliniska grund

EPIMODE bygger vidare på två viktiga kliniska underlag: den avslutade Fas IIa-studien och det avslutade 12 månader långa Expanded Access Program (EAP). I Fas IIa-studien uppvisade CS1 en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil tillsammans med effektsignaler som indikerade förbättringar av högerhjärtfunktion, funktionsklass, riskpoäng och patienternas livskvalitet, samt tidiga tecken förenliga med tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar (*eng. reverse vascular remodeling*).

EAP gav ytterligare erfarenhet av långvarig behandling med CS1 och uppnådde sitt primära mål om säkerhet och tolerabilitet. En majoritet av de patienter som fullföljde 12 månaders behandling bibehöll eller förbättrade sin kliniska status, samtidigt som den gynnsamma säkerhets- och tolerabilitetsprofilen var överensstämmande med observationerna från Fas IIa-studien. Vid en progressiv sjukdom som PAH, där patienter försämras över tid trots tillgänglig behandling, ger dessa långtidsobservationer ytterligare stöd för att utvärdera CS1 i den större, randomiserade och placebokontrollerade Fas IIb-studien EPIMODE.

En unik Fas IIb-design för att utvärdera dos, effekt och sjukdomsmodifierande potential

EPIMODE är en global, randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad och dosfinnande Fas IIb-studie som utvärderar CS1 som tillägg till stabil standardbehandling hos patienter med PAH. Studien är utformad för att utvärdera effekt, säkerhet och tolerabilitet, fastställa optimal dos för fortsatt utveckling samt ge ytterligare kunskap om CS1:s potentiellt sjukdomsmodifierande effekter.

Studienamnet EPIMODE speglar bolagets vetenskapliga fokus på epigenetisk modulering vid hjärt- och lungsjukdomar samt studiens syfte att utvärdera CS1:s effekter på de mekanismer som driver den underliggande sjukdomsbiologin vid PAH.

Studien har en differentierad tvåstegsdesign. Under den första behandlingsperioden om nio månader randomiseras deltagarna till en av två dosnivåer av CS1 eller placebo. Därefter sker en omrandomisering inför den andra behandlingsperioden: deltagare som initialt antingen fått en av två doser CS1 kan fortsätta behandlingen eller byta till placebo, medan de som initialt fått placebo övergår till aktiv behandling med någon av de två CS1-doserna. Detta innebär att samtliga deltagare får aktiv behandling under en del av studien. Designen gör det också möjligt för Cereno att utvärdera hur behandlingseffekterna utvecklas vid fortsatt behandling med CS1 eller efter byte mellan CS1 och placebo, vilket ger ytterligare kunskap om potentialen av CS1:s sjukdomsmodifierande effekter.

Studiens primära effektmått är förändring i pulmonell vaskulär resistans (PVR), uppmätt med högerhjärtkateterisering efter den första behandlingsperioden på nio månader. PVR är ett centralt hemodynamiskt mått vid PAH som speglar motståndet av blodflödet genom lungcirkulationen och den belastning som läggs på hjärtats högra sida. Studien kommer även att utvärdera andra parametrar, däribland högerhjärtfunktion, fysisk funktionsförmåga, riskpoäng, biomarkörförändringar, klinisk försämring, patientrapporterade utfallsmått samt farmakokinetik. Den totala studieperioden är 56 veckor.

Stärkt strategiskt värde och fortsatt momentum

Aktiveringen av det första studiecentret utgör en viktig operativ och värdeskapande milstolpe för CS1 och möjliggör att screening och rekrytering av patienter till EPIMODE-studien kan inledas. Det visar att de omfattande uppstartsaktiviteterna nu omsätts i genomförande och för programmet vidare mot att generera randomiserade och kontrollerade kliniska data som behövs för att ytterligare definiera CS1:s kliniska profil, med målet att minska kvarstående klinisk osäkerhet och stödja fortsatt utveckling och partneraktiviteter. Detta stärker CS1:s kliniska mognad, strategiska värde och relevans i pågående dialoger med potentiella partners samt i utvärderingen av bredare strategiska möjligheter. Sammantaget går CS1 nu in i en period av ökande klinisk aktivitet, i takt med att EPIMODE-studien fortskrider genom ytterligare centeraktiveringar och patientrekrytering och närmar sig randomisering och dosering av den första patienten.

Dessa operativa framsteg sker vid en strategiskt viktig tidpunkt för Cereno Scientific, då CS1 avancerar mot randomiserad behandling i Fas IIb samtidigt som bolagets finansiella flexibilitet och position i partnerdialoger har stärkts. Den nyligen genomförda riktade nyemissionen om 60 MSEK till en premie har stärkt bolagets finansiella flexibilitet och förhandlingsposition, vilket gör det möjligt för bolaget att fortsätta driva sina program framåt från en starkare position samtidigt som partnerdiskussionerna fortgår. Samtidigt har slutförandet av dosering och deltagarbesök i CS014 FDA-förankrade farmakokinetiska PK-bryggstudie skapat ytterligare en potentiell värdedrivare i närtid och ytterligare stärkt djupet och den strategiska relevansen i Cerenos HDAC-hämmarplattform.

"Detta är en viktig och efterlängtd operativ milstolpe för Cereno Scientific, för vårt ledande program och största värdedrivare CS1 och, i förlängningen, för människor som lever med PAH. Aktiveringen av det första studiecentret visar att den omfattande planering och de förberedelser som krävs för att starta en större, randomiserad och placebokontrollerad Fas IIb-studie nu omsätts i kliniskt genomförande på centernivå. Det aktiverade centret kan nu inleda screening och rekrytering, vilket för EPIMODE-studien närmare randomisering och dosering av den första patienten samtidigt som ytterligare center avancerar mot aktivering. Tillsammans med vår stärkta finansiella position, pågående partneraktiviteter och framsteg i hela vår pipeline stärker detta Cereno Scientifics momentum när vi går in i en aktiv period med operativa och kliniska milstolpar", säger Sten R. Sörensen, vd för Cereno Scientific.

För mer information, vänligen kontakta:

Tove Bergenholt, Head of IR & Communications
E-post: tove.bergenholt@cerenoscientific.com
Telefon: +46 73- 236 62 46

Om EPIMODE-studien

EPIMODE är en global, randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad och dosfinnande Fas IIb-studie som utvärderar effekt, säkerhet och tolerabilitet av CS1 som tillägg till standardbehandling. Studien syftar även till att ytterligare utvärdera CS1:s potentiellt sjukdomsmodifierande effekter samt identifiera den optimala dosen för fortsatt utveckling. Studiens primära effektmått är förändring i pulmonell vaskulär resistans (PVR), uppmätt efter den första behandlingsperioden om nio månader. PVR är ett centralt hemodynamiskt mått vid PAH som speglar motståndet av blodflödet genom lungcirkulationen och den belastning som läggs på hjärtats högra sida. Genom att använda PVR som primärt effektmått är EPIMODE utformad för att ytterligare utvärdera om CS1 kan påverka viktiga sjukdomsdrivande mekanismer vid PAH. Studien planerar att inkludera cirka 126 patienter vid omkring 68 kliniska center i 12 länder i Nordamerika, Europa och Sydamerika. Topline-resultat väntas under det fjärde kvartalet 2028, förutsatt att rekryteringen fortlöper enligt plan. Fas IIb-studien har fått namnet EPIMODE, vilket speglar den vetenskapliga grunden för CS1-programmet och Cereno Scientifics fokus på epigenetisk modulering vid hjärt- och lungsjukdomar. Mer information finns på [Clinicaltrials.gov: NCT07761572](https://clinicaltrials.gov/NCT07761572).

Om CS1

CS1 är Cereno Scientifics ledande läkemedelskandidat i klinisk utveckling. Det är en HDAC-hämmare som verkar genom epigenetisk modulering och utgör en ny terapeutisk strategi genom att rikta in sig på de underliggande sjukdomsdrivande mekanismerna vid pulmonell arteriell hypertension (PAH), inklusive sjukliga kärlförändringar i lunga, fibros och inflammation. CS1 utvecklas som en oral behandling med dosering en gång dagligen och har potential att bli en sjukdomsmodifierande behandling för PAH som ges som tillägg till standardbehandling. I den avslutade Fas IIa-studien uppvisade CS1 en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil tillsammans med effektsignaler som indikerade förbättringar av högerhjärtfunktion, funktionsklass, riskpoäng och patienternas livskvalitet. Resultaten visade även tidiga tecken i linje med tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar, vilket ger ytterligare stöd för CS1:s potential att påverka de underliggande mekanismerna bakom sjukdomsprogression vid PAH. Långtidsdata från det avslutade 12 månader långa Expanded Access Program (EAP) bekräftade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil under upp till 15 månaders behandling, i linje med observationerna från Fas IIa-studien, och visade att en majoritet av patienterna som fullföljde behandlingen bibehöll eller förbättrade sin kliniska status. CS1 utvärderas för närvarande i EPIMODE, en större, placebokontrollerad global Fas IIb-studie. CS1 har beviljats särlekemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) av både FDA och Europeiska kommissionen för behandling av PAH samt Fast Track-status av FDA.

Om Cereno Scientific AB

Cereno Scientific är banbrytande inom behandlingar som förbättrar och förlänger livet. Bolagets innovativa pipeline består av sjukdomsmodifierande läkemedelskandidater som hjälper människor som lider av sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar att leva sina liv fullt ut.

Den ledande läkemedelskandidaten CS1 är en HDAC-hämmare som verkar genom epigenetisk modulering och representerar ett nytt terapeutiskt angreppssätt genom att rikta in sig på de underliggande mekanismerna i sällsynta sjukdomen pulmonell arteriell hypertension (PAH). CS1 är en väl tolererad oral behandling med en gynnsam säkerhetsprofil som i en Fas IIa-studie på patienter med PAH har visat lovande effektsignaler, inklusive förbättrad högerhjärtkammarfunktion, funktionsklass, riskpoäng och livskvalitet, med tidiga tecken i linje med tillbakabildning av kärlförändringar (eng. reverse vascular remodeling). Ett Expanded Access Program bekräftade att CS1 är väl tolererad med en gynnsam säkerhetsprofil under 12 månaders behandling och visade att en majoritet av de patienter som fullföljde behandlingen bibehöll eller förbättrade sin kliniska status. CS014 är en ny kemisk substans och HDAC-hämmare som verkar genom en multimodal verkningsmekanism som en epigenetisk modulator med potential att adressera den underliggande patofysiologin hos ett flertal kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar med stora kvarstående medicinska behov. CS014 uppvisade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil i en Fas I-studie, utveckling drivs vidare genom en effektiviserad och FDA-förankrad väg mot en Fas IIb-studie i pulmonell hypertension associerad med interstitiell lungsjukdom (PH-ILD). Cereno Scientific driver även det prekliniska programmet CS585 framåt, en oral, mycket potent och selektiv prostacyklin (IP)-receptoragonist som har visat förmåga att förebygga trombos utan ökad blödningsrisk och som för närvarande utvärderas vid antifosfolipidsyndrom (APS).

Bolaget har huvudkontor i GoCo Health Innovation City i Göteborg, Sverige, och har ett amerikanskt dotterbolag, Cereno Scientific Inc. med kontor på Kendall Square i Boston. Cereno Scientific är noterat på Nasdaq First North Growth Market (CRNO B). Bolagets Certified Adviser är DNB Carnegie Investment Bank AB, certifiedadviser@carnegie.se. Mer information finns på www.cerenoscientific.se.