

Cereno Scientific rapporterar positiva topline-resultat från Fas I PK bridging-studie med CS014 som stärker den avsedda direkta vägen mot Fas IIb inom PH-ILD

Cereno Scientific (Nasdaq First North: CRNO B), ett innovativt biotechbolag som utvecklar banbrytande behandlingar för att förbättra och förlänga livet för personer med sällsynta hjärt- och lungsjukdomar, meddelar idag positiva topline-resultat från den farmakokinetiska (PK) Fas I bridging-studien med bolagets HDAC-hämmare CS014. Resultaten uppfyllde bolagets på förhand definierade förväntningar och stärker den planerade regulatoriska strategin att föra CS014 direkt vidare mot Fas IIb utan en Fas IIa-studie eller ytterligare icke-kliniska säkerhetsstudier, förutsatt FDA:s granskning av det fullständiga IND-underlaget. Cereno Scientific planerar att lämna in en IND-ansökan till FDA under fjärde kvartalet 2026, med planerad start av en Fas IIb-studie inom PH-ILD under tredje kvartalet 2027, förutsatt regulatoriskt godkännande.

Positiva topline-resultat stödjer den avsedda bridging-strategin

PK bridging-studien utformades baserat på återkoppling från FDA och genomfördes för att karakterisera det farmakokinetiska förhållandet mellan CS014 och VPA, en väletablerad HDAC-hämmare med en lång klinisk användning vid neurologiska sjukdomar.

En farmakokinetisk studie, eller PK-studie, undersöker hur ett läkemedel beter sig i kroppen, inklusive läkemedelsexponeringen över tid. PK bridging-studien var en öppen, randomiserad Fas I-studie med två behandlingsperioder och crossover-design som genomfördes på 14 friska frivilliga studiedeltagare i Sverige. I en crossover-studie får varje deltagare båda behandlingarna under separata behandlingsperioder, vilket gör det möjligt att jämföra de farmakokinetiska profilerna för CS014 och VPA hos samma deltagare. Studien utvärderade farmakokinetiken vid steady state efter sju dagars upprepad oral dosering av CS014 respektive VPA. Steady state innebär att läkemedelsexponeringen har nått stabila nivåer över flera doseringsintervall.

Det primära målet var att karakterisera och jämföra plasmakoncentrationsprofilerna för CS014 och VPA vid steady state. Topline-analysen jämförde plasmakoncentrationsprofilerna för CS014 och VPA vid 14 provtagningstidpunkter.

Det observerade förhållandet mellan plasmakoncentrationsprofilerna för CS014 och VPA var konsekvent under hela den utvärderade provtagningsperioden och överensstämde med de antaganden som ligger till grund för Cerenos avsedda regulatoriska bridging-strategi. Resultaten uppfyllde bolagets på förhand definierade förväntningar och stärker bolagets plan att inkludera PK-data som en del av underlaget för Investigational New Drug (IND)-ansökan, till stöd för att föra CS014 direkt vidare mot en Fas IIb-studie.

Samtliga 14 deltagare fullföljde studien. Samtliga rapporterade biverkningar var milda, ingen biverkning ledde till att någon deltagare avbröt studien och inga allvarliga biverkningar rapporterades. Resultaten överensstämde med den gynnsamma säkerhets- och tolerabilitetsprofil som tidigare observerats för CS014 i den tidigare first-in-man Fas I-studien.

Mer omfattande resultat från studien avses att publiceras i en vetenskapligt granskad tidskrift under 2027.

”Studien uppnådde sitt mål att karakterisera det farmakokinetiska förhållandet vid steady state mellan CS014 och VPA, och de observerade profilerna överensstämde med de antaganden som ligger till grund för vår planerade bridging-strategi”, sade Rahul Agrawal, CMO och Head of R&D på Cereno Scientific. ”CS014 tolererades också generellt väl och samtliga deltagare fullföljde studien. Dessa positiva resultat ger svar på en viktig farmakokinetisk frågeställning och kommer att utgöra en del av det samlade dataunderlaget för vår planerade IND-ansökan och våra diskussioner med FDA om fortsatt utveckling mot Fas IIb.”

Vad resultaten innebär för den fortsatta utvecklingen av CS014

Betydelsen av PK bridging-studien ligger inte bara i det positiva utfallet, utan också i vad resultaten kan möjliggöra för den fortsatta utvecklingen av CS014.

CS014 är en proprietär, precisionsdeutererad ny kemisk substans, medan VPA är en välkarakteriserad HDAC-hämmare med lång erfarenhet av säker klinisk användning vid neurologiska sjukdomar såsom epilepsi. Den omfattande kunskapen om VPA:s farmakokinetik och säkerhet gör substansen till en användbar och välkarakteriserad referens för CS014. Bridging-strategin är utformad för att göra det möjligt för Cereno att dra nytta av befintlig kunskap och data om VPA och därmed potentiellt undvika behovet av att upprepa delar av ett annars mer omfattande utvecklingsprogram.

Bridging-strategin bedöms utifrån det övergripande farmakokinetiska förhållandet mellan CS014 och VPA, snarare än utifrån om studien uppnår ett enskilt på förhand definierat PK-värde. Likheten mellan de plasmakoncentrationsprofiler som observerades under den utvärderade provtagningsperioden stödjer de antaganden som ligger till grund för Cerenos planerade utvecklingsstrategi.

Resultaten innebär därför mer än att ytterligare ett steg i Fas I-utvecklingen har slutförts. De ger svar på en viktig farmakokinetisk frågeställning, minskar en viktig osäkerhet i utvecklingen och stärker grunden för en mer effektiv väg vidare till klinisk utveckling i patienter.

Baserat på de resultat som hittills har genererats har Cereno fortsatt tilltro till den avsedda utvecklingsstrategin att föra CS014 direkt vidare till en Fas IIb-studie inom PH-ILD, utan att genomföra en Fas IIa-studie eller ytterligare icke-kliniska säkerhetsstudier. Denna utvecklingsväg skulle kunna göra det möjligt för Cereno att fokusera tid och resurser på att genomföra den första kontrollerade studien i patienter, utformad för att utvärdera om den differentierade profil som CS014 har uppvisat i icke-kliniska studier och Fas I-studier kan omsättas i klinisk nytta.

”Dessa resultat minskar en viktig osäkerhet kring utvecklingen av CS014 och stärker vår avsedda direkta väg mot Fas IIb. Förutsatt FDA:s godkännande skulle denna utvecklingsväg kunna göra det möjligt för oss att gå vidare utan en Fas IIa-studie och ytterligare icke-kliniska säkerhetsstudier, vilket potentiellt kan minska utvecklingstid, kostnad och komplexitet. Vi går nu vidare med vår planerade IND-ansökan och förberedelserna inför nästa viktiga kliniska milstolpe för CS014”, sade Sten R. Sörensen, vd för Cereno Scientific.

Vidare mot IND-ansökan och Fas IIb

Efter att den viktiga farmakokinetiska frågeställningen nu har besvarats fortsätter Cereno Scientific med de regulatoriska, tillverkningsrelaterade och kliniska förberedelser som krävs för nästa steg i utvecklingen av CS014.

Inlämning av en IND-ansökan till FDA planeras till fjärde kvartalet 2026. Ansökan kommer att omfatta resultaten från PK bridging-studien tillsammans med befintlig klinisk och icke-klinisk dokumentation samt dokumentation avseende kemi, tillverkning och kvalitetskontroll (CMC) som stöd för det föreslagna Fas IIb-programmet. Parallellt fortsätter CMC- och tillverkningsarbetet för att säkerställa tillgång till prövningsläkemedel inför den planerade Fas IIb-studien.

Den placebokontrollerade Fas IIb-studien inom PH-ILD planeras att inledas under tredje kvartalet 2027, förutsatt nödvändiga regulatoriska godkännanden.

Den planerade studien utgör nästa viktiga kliniska milstolpe för CS014 och blir den första studien som utformats för att utvärdera om läkemedelskandidatens differentierade profil kan omsättas i klinisk nytta för patienter med PH-ILD.

Det positiva utfallet från PK bridging-studien skapar därmed en tydlig följd av kommande milstolpar i utvecklingen: inlämning och godkännande av IND-ansökan, fortsatt CMC- och tillverkningsberedskap samt planerad start av Fas IIb.

CS014 utvecklas inom en sjukdom med betydande medicinskt behov

PH-ILD är ett allvarligt och progressivt tillstånd där pulmonell hypertension utvecklas hos patienter med interstitiell lungsjukdom, vilket ökar belastningen på hjärtat och är förknippat med en försämrad prognos.

Trots att PH-ILD är ett allvarligt tillstånd är behandlingsalternativen mycket begränsade, med endast en behandling som för närvarande är godkänd för PH-ILD i USA och ingen i Europa. Detta understryker det betydande medicinska behovet av nya behandlingsalternativ.

Cereno bedömer att CS014:s multimodala verkningsmekanism kan vara särskilt relevant vid pulmonell hypertension associerad med interstitiell lungsjukdom (PH-ILD).

Som en precisionsdeutererad HDAC-hämmare och epigenetisk modulator är CS014 utformad för att påverka flera sammankopplade mekanismer som bidrar till utvecklingen av kardiopulmonella sjukdomar, däribland fibros (ärrbildning i vävnad), sjukliga kärlförändringar i lunga (skadliga förändringar i lungornas blodkärl), inflammation och trombos (bildning av blodproppar).

I stället för att enbart fokusera på symtombehandling är CS014 utformad för att påverka flera bakomliggande biologiska processer som är kopplade till sjukdomsprogression.

I den slutförda first-in-man Fas I-studien uppvisade CS014 en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil hos friska frivilliga. Samtliga deltagare fullföljde studien, inga allvarliga biverkningar inträffade och samtliga behandlingsrelaterade biverkningar var milda, övergående och gick helt tillbaka.

Fas I-studien visade även att CS014 uppnådde blodkoncentrationer på och över de nivåer som, baserat på icke-kliniska data, beräknas stödja maximal effekt på tillbakabildning av sjukliga lungkärlsförändringar och fibros. Tillsammans med icke-kliniska fynd som visar effekter på flera sjukdomsdrivande mekanismer ger dessa resultat en vetenskaplig och klinisk grund för att föra CS014 vidare till studier i patienter.

Den planerade Fas IIb-studien inom PH-ILD blir den första studien som utformats för att utvärdera om CS014:s differentierade profil kan omsättas i klinisk nytta för patienter.

Utöver PH-ILD ger CS014:s multimodala verkningsmekanism en vetenskaplig grund för dess potentiella användning inom andra hjärt- och lungsjukdomar där fibros, lungkärlsförändringar, inflammation och trombos bidrar till sjukdomsprogression.

Stärker Cerenos kliniska portfölj av HDAC-hämmare

Att föra CS014 vidare mot Fas IIb stärker ytterligare Cereno Scientific som ett bolag i klinisk fas med flera läkemedelskandidater.

CS014 kompletterar huvudkandidaten CS1, som för närvarande utvärderas i den globala Fas IIb-studien EPIMODE inom pulmonell arteriell hypertension (PAH).

CS1 och CS014 är två separata läkemedelskandidater med olika formuleringar, indikationer och utvecklingsvägar, men delar en vetenskaplig grund inom HDAC-hämning och epigenetisk modulering. Båda kandidater är utformade för att påverka bakomliggande biologiska mekanismer associerade med sjukdomsprogression snarare än att enbart fokusera på symtombehandling. Cerenos patentportfölj för HDAC-hämmare är skyddad till 2045/46, exklusive potentiella patenttidsförlängningar.

Utvecklingen av CS014 ger Cereno två differentierade kliniska HDAC-hämmarprogram inom separata sällsynta hjärt- och lungsjukdomar. Detta ger bolaget en bredare pipeline, breddar de kliniska möjligheterna och skapar flera möjligheter att generera kliniska data. Det gör det också möjligt för bolaget att utvärdera potentialen för epigenetisk modulering inom olika sjukdomar.

För mer information, vänligen kontakta:

Tove Bergenholt, Head of IR & Communications

E-post: tove.bergenholt@cerenoscientific.com

Telefon: +46 73- 236 62 46

Denna information är sådan information som Cereno Scientific är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2026-09-25 10:14 CEST.

Om CS014

CS014 är en ny patentskyddad kemisk substans (new chemical entity) och en HDAC-hämmare. Som epigenetisk modulator med multimodal verkningsmekanism har CS014 potential att angripa de underliggande sjukdomsmekanismerna vid flera sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar med stora medicinska behov. I prekliniska studier har CS014 visat stark effekt på tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar, fibros och trombos, vilka är centrala drivkrafter för sjukdomsprogression vid flera kardiovaskulära och pulmonella tillstånd, och indikerar sjukdomsmodifierande potential ([Stanger, L. et al., 2025](#)). Den nyligen avslutade Fas I-studien bekräftade att CS014 har en gynnsam säkerhetsprofil och tolereras väl vid och över exponeringsnivåer som, baserat på icke-kliniska data, förväntas stödja maximala effekter på tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar och fibros. Dessa resultat stödjer fortsatt utveckling av CS014 i klinisk Fas II. Cereno Scientific utvecklar CS014 som en potentiell ny behandling för patienter med allvarliga och progressiva kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar där effektiva behandlingsalternativ idag saknas. Bolagets HDAC-hämmarportfölj är skyddad fram till 2045/46, exklusive potentiella patentförlängningar.

CS014 är strategiskt viktigt både som en enskild läkemedelskandidat och som en del av Cereno Scientifics bredare HDAC-hämmarplattform. Kandidatens patentskyddade och precisionsdeutererade design är avsedd att kombinera den biologiska relevansen i HDAC-/VPA-baserade mekanismer med optimerade farmakokinetiska egenskaper och metabolisk stabilitet.

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. CS1 utvärderas för närvarande i EPIMODE, en global, placebokontrollerad Fas IIb-studie i PAH. 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.