

Jakt på partnerskap

Forskare pekar på fördel med laquinimod

Forskarna bakom LION-studien publicerade i mars sina resultat från de vävnadsprover från patienter som doserats med ögondropsformuleringen av laquinimod (LAQ). Projektet är viktigt för Active Biotech som söker en partner för att ta det vidare till en fas 2a-studie.

Inflammationer i ögats bakre delar är svåra att behandla med ögondroppar på grund av ögats komplicerade anatomi. Forskarnas slutsats är att LAQ ögondroppar ändå kan bli ett topikalt läkemedel mot icke-infektiös uveit, även i de bakre delarna av ögat.

Liten studie på svårbehandlad vävnad

Studien genomfördes på tio patienter vid Byers Eye Institute i Kalifornien inför en i förväg planerad operation av ögat. Av de vävnadsprover från ögats glaskropp som samlades in kunde åtta utvärderas. Mängden aktiv substans som nådde glaskroppen utgjorde en fraktion, ca en procent, av den uppmätta nivån aktiv substans i de främre delarna av ögat.

Trots dessa begränsningar drar forskarna slutsatsen att tillräckligt med aktiv substans bör ha nått de bakre delar av ögat för att ha effekt på inflammation. Bland annat stödjer de sig på tidigare data från fas 3-studier med LAQ på patienter med multipel skleros.

En av två myelofibros-studier har startat om

Active Biotechs andra projekt, tasquinimod, har fått en långsam start på de två fas 2a-studier i myelofibros som inleddes under 2024. Den amerikanska studien vid MD Anderson Cancer Center i Houston är i gång med rekrytering av patienter efter ett längre uppehåll medan den europeiska studien i dagarna fått tillstånd att starta om.

Active Biotech skriver i sin årsredovisning att bolaget ändå räknar med interimresultat under 2026 och att första effektdata ska kunna presenteras i slutet av 2027. Det återstår att se hur långt rekryteringen i dessa studier då har hunnit, men historiskt har tidiga studier på denna ovanliga sjukdom behövt längre tid på sig för att nå full rekrytering.

Fortsatt jakt på avtal för laquinimod

Kassaförbrukningen under årets första kvartal låg på 12 miljoner SEK, varav 3,4 miljoner SEK avser transaktionskostnader i den genomförda nyemissionen. Vid utgången av kvartalet återstod 53 miljoner SEK, vilket ledningen uppger ska räcka till inledningen på 4:e kvartalet 2027.

Vi kalkylerar optimistiskt med att bolaget under 2026 kan ingå ett avtal om partnerskap, vilket skulle innebära en stor framgång. Motiverat värde om 23 öre per aktie sätter hög sannolikhet på ett avtal med uppfört på 5 miljoner USD.

Active Biotech

Rapportanalys

Datum 18 maj 2026
Analytiker Sten Westerberg

Basfakta

Bransch Läkemedelsutveckling
Styrelseordförande Michael Shalmi
VD Helén Tuveesson
Noteringsår 1997
Listning Nasdaq Stockholm
Ticker ACTI
Aktiekurs, kr 0,06
Antal aktier*, milj. 2 636
Börsvärde, mkr 140
Kassa*, mkr 53

Motiverat värde

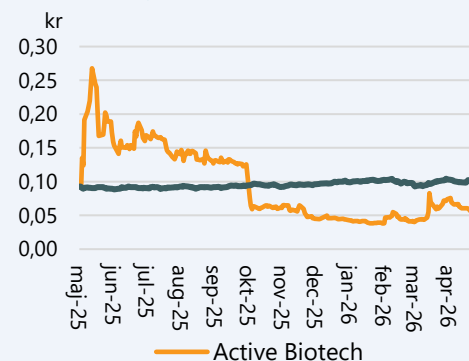
0,23kr

Webbplats

www.activebiotech.com

*) Prognos

Kursutveckling senaste året



Källa: Refinitiv

Prognoser & Nyckeltal, mkr

| | 2025 | 2026p | 2027p | 2028p |
|-----------------------|---------|--------|--------|--------|
| Omsättning, riskjust. | 0 | 43 | 0 | 56 |
| Operativa kostnader | 38 | 39 | 42 | 42 |
| Nettoresultat | -38 | 4 | -42 | 14 |
| Vinst per aktie | -0,9 kr | 0,0 kr | 0,0 kr | 0,0 kr |
| Likvida medel | 65 | 69 | 27 | 41 |
| Nyemission | 78 | 0 | 0 | 0 |

Källa: Bolaget, Analysguiden

Positiv studie om laquinimod

LION-studien, också kallad biodistributions-studien, undersökte hur stor del av laquinimod (LAQ) i ögondroppar (hydrogel) som kunde tränga hela vägen från ögats hornhinna in till glaskroppen i den bakre delen av ögat¹. Forskarna i studien ställdes inför en rad utmaningar, allt ifrån litet antal deltagare till komplicerade farmkokinetiska modeller för hur läkemedel tas upp i ögats olika vävnader.

Resultatet visar att en fraktion, ca en procent, av den mängd som droppades i ögats främre del, alltså hornhinna, nådde till ögats bakre delar, den så kallade glaskroppen. Terapeutiskt aktiva nivåer av LAQ i de stora fas 3-prövningar som gjordes på multipel skleros under 2013–14 visade beräkningar på fria koncentrationer i hjärnan om 10–20 nM², vilket ska jämföras med den nivå på i genomsnitt 76 nM som uppmättes hos de tre deltagare som stod på högsta dos, alltså 1,8 mg LAQ/dag.

Författarna till artikeln konkluderar att LAQ ögondroppar (hydrogel) har potential att bli en topikal, steroid-fri immunomodulerande behandling av inflammatoriska ögonsjukdomar, även i ögats bakre delar. Studien publicerades i slutet av mars i tidskriften *Ophthalmology Science*, en open-access tidskrift som sponsras av American Society of Ophthalmology. Ansvarig författare är Quan Dong Nguyen vid Byers Eye Institute, Stanford University.

Begränsningar i LION-studien

LION-studien är den andra fas 1-studien av LAQ ögondroppar. Studien har några begränsningar, bland annat det lilla antalet deltagare. De tio deltagarna som ingick skulle alla genomgå ögonkirurgi, vilket tillät vävnadsprov av ögats olika delar kunde utvinnas. Av de tio vävnadsproverna kunde åtta prover från glaskroppen och sju från den grundare vätskekroppen bakom ögats lins analyseras.

Totala LAQ-nivåer i biodistribution (LION)

| Dosering (mg/dag) | Glaskropp (ng/mL) | Ögon-vätska (ng/mL) | Blod-plasma (ng/mL) | Total mängd, mg |
|-------------------|-------------------|---------------------|---------------------|-----------------|
| 0,6 | 6,9 | 508 | 153 | 8,4 |
| 1,2 | 26,1 | 1 943 | 332 | 16,8 |
| 1,8 | 38,7 | 3 640 | 563 | 25,2 |

Källa: Analysguidens sammanställning av LION-studien

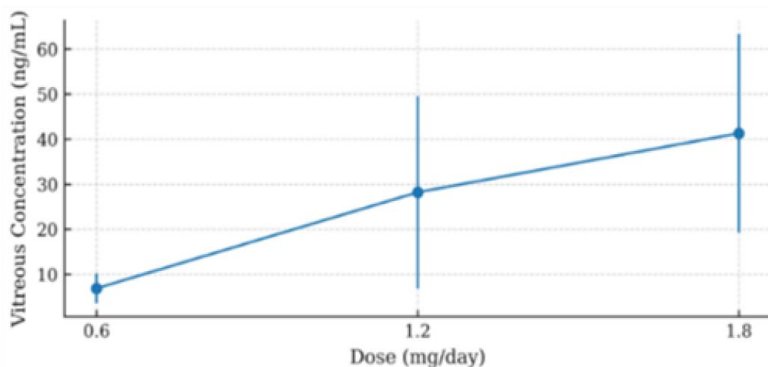
Tre av deltagarna testade den hösta dosen 1,8 mg LAQ/dag (1 800 ng/dag) och uppnådde då nivåer i ögats glaskropp på i genomsnitt 38,5 ng/mL (15–60 ng/mL), varav författarna uppger att en majoritet är obundet LAQ (27 ng/mL), alltså den form av LAQ som har möjlighet att reagera med inflammationen i glaskroppen. Vid systemisk behandling (tablett) av multipel skleros var den obundna nivån av LAQ i plasma däremot betydligt lägre.

¹ El Feky et al, doi.org/10.1016/j.xops.2026.101186

² Varrin-Doyer et al, *Exp Neurol*. 2014; 262: 66-71

En utmaning i studien var att försöka bestämma hur stor del av LAQ-nivåerna i glaskroppen kommer från ögonvätska och inte via blodkärlen i ögats bakre delar. Plasmanivåerna av LAQ gör att denna ”bakväg” inte går att utesluta, men i artikeln redogörs för farmakokinetiska modeller som tillåter författarna att fastslå att majoriteten av LAQ har trängt fram till glaskroppen via ögat snarare än blodkärlen.

Tydlig respons på tre dosnivåer



Källa: El-Faky et al, LION-studien, Ophthalmology Science

Diagrammet ovan visar den totala mängd i ng/mL som nått ögats glaskropp (vitreous) vid de tre testade doserna. Den totala mängden är en kombination av vad som trängt genom ögats vätskekropp eller nått glaskroppen via blodkärl i ögats bakre del.

Jämförelse med andra läkemedel

Den uppnådda nivån i högsta dos 27 ng/mL jämförs i artikeln med försök med ketorolac, ett icke-steroidalt anti-inflammatoriskt läkemedel. Ett försök baserat på samma metodik som LION-studien, vävnadsprover efter ögonkirurgi, visade att behandling med ketorolac ögondroppar fyra gånger om dagen under tre dagar före kirurgi uppnådde nivåer på 7 ng/mL i patienter som hade ny lins inopererad³. Denna jämförelse försvåras av att endast en av patienterna i LION-studien hade ny lins.

Vi tar mer fasta på att författarna refererar till den LAQ-studie på patienter som publicerades 2014 och som konstaterade att LAQ-koncentrationer i bennmärgsvätska-hjärnan på 10–20 nM var förknippade med terapeutisk aktivitet⁴. I LION-artikeln redogör författarna också för en rad tidigare försök där läkemedel testats som ögondroppar men misslyckats att nå hela vägen till ögats bakre delar. Sammantaget gör LION-artikeln att vi behåller positiva antaganden för LAQ-projektet i väntan på att bolaget hittar en partner för att gå vidare till mer omfattande studier på den tilltänka målgruppen.

Intressant medicinskt behov öppnar sig

Dagens behandling av icke-infektiös uveit i glaskroppen domineras av tabletter som når ögat via blodomloppet. De formulering i ögondroppar som finns har visat svårigheter att nå genom den komplicerade

³ Heier et al, Retina. 2009;29(2):131-5.

⁴ Varrin-Doyer et al, Exp Neurol. 2014;262:66-71.

anatomin i ögat till de bakre delarna av ögat där olika inflammatoriska tillstånd kan förekomma, t ex icke-infektiös icke-främre (bakre) uveit.

Förutom svårigheter att tränga genom ögats olika delar medför steroid-baserad läkemedel också en risk för biverkningar, som störd sömn och hormonrubbningar. Författarna till LION-artikeln ser mot denna bakgrund att LAQ-projektet skulle tillgodose ett medicinskt behov.

MD Anderson-studie startar igen

Active Biotech meddelade i februari att det amerikanska protokollet för bolagets fas 2-studie med tasquinimod på patienter med myelofibros har godkänts av den amerikanska läkemedelsmyndigheten. MD Anderson, det cancercenter i Houston som ansvarar för studien, har ändrat status för studien till Enrolling från tidigare Not enrolling.

Rekryteringen av nya patienter sattes på paus i april förra året efter att ha inkluderat en av de 33 patienter som enligt plan ska behandlas. Parallellt med USA-studien driver en holländsk cancerorganisation, HOVON, också en fas 1/2-studie med tasquinimod, där tjugo patienter är tänkta att ingå. Två patienter hann starta behandling i denna studie innan inklusion av nya deltagare på paus i april förra året. HOVON-studien betecknas på organisationens hemsida fortfarande som satt på paus, men i dagarna fick det nya protokollet godkänt även i den europeiska studien.

Active Biotech skrev i sitt emissionsdokument från november förra året att ett nytt studieprotokoll i USA förväntades i slutet av 2025 och i Europa under första kvartalet i år. I årsredovisningen skriver VD att interimresultat förväntas under 2026 och att första effektdata kan redovisas under 2027.

Vi gör bedömningen att alla 53 patienter i de två studierna inte är inkluderade före halvårsskiftet 2027, men tillräckligt många för att en 24-veckors effektanalys ska kunna göras i slutet av 2027. Studien är oblandad, vilket skapar stor flexibilitet i hur olika utfall kan kommuniceras.

Olika möjliga förklaringar till avbrott

Bolaget anger som skäl till uppehållet i studierna bland annat att prövningsledarna vill ha ökad flexibilitet vid titrering av nya patienter, alltså den period med lägre startdos som nya patienter får. I tidigare studier på patienter med prostatacancer och multipelt myelom har en lägre dos använts under de första veckorna innan den maximala dosen, 1 mg per dag, sattes in.

Det är möjligt att patienter med myelofibros inte förväntas tolerera lika hög startdos som i multipelt myelom. Sjukdomsförloppet är ofta långsammare och det rör sig om äldre patienter som kan vara bräckliga. Ytterligare ett skäl till det ändrade protokollet i USA är att ett nytt läkemedel har etablerat sig som konkurrerande förstahandsval till Jakafi. Därför har protokollet breddats från att endast tillåta patienter som får Jakafi (ruxolitinib, Incyte) till att även inkludera pati-

enter som står på Ojjaara (mometotinib, GlaxoSmithKline). Ett bredare urval av patienter gör att studien snabbare kan nå full anslutning.

Optimistisk målsättning för slutförandet

Vi räknar inte med att bolaget hinner presentera en slutanalys av alla patienter i slutet av 2027. Det återstår att se hur många som hinner starta behandling före halvårsskiftet nästa år, men vårt intryck är att rekrytering till myelofibros-studier tar lång tid. Myelofibros är en sällsynt sjukdom (0,2 till 1,0 nya fall per 100 000 invånare och år⁵) och tasquinimod konkurrerar om patienter med andra studier som pågår inom området.

MD Anderson skriver på sin hemsida att den specialiserade avdelning som behandlar myeloproliferativa neoplasmer (MPN) tar emot mer än 300 patienter per år, vilket gör dem till världens ledande center för behandling av MPN. Vi antar att största delen av MPN-patienterna utgörs av akut myeloid leukemi (AML) och att högst en tredjedel har diagnosen myelofibros, alltså ca 100 patienter per år. Vi noterar också att MD Anderson redan bedriver flera studier inom myelofibros och att tretton av dessa aktivt söker patienter, vilket delvis gör dem till konkurrenter.

Konservativ HOVON-prognos för nya patienter

Enligt det ursprungliga schemat för HOVON-studien skulle rekryteringen av tjugo patienter pågå från december 2024 till mars 2027, alltså mindre än en rekryterad patient i månaden (0,7). Om denna tidslinje appliceras efter omstart skulle max 12 patienter kunna ingå i en första effektanalys före slutet av 2027, förutsatt att ett nytt protokoll är godkänt senast i april i år.

Studien har behandlat två patienter och fyra återstår innan en första säkerhetsanalys är möjlig, möjligen i år. Det kan då också vara möjligt att redovisa effekt på blodvärden. Det primära effektmåttet i studiens påföljande fas 2-del utgörs av uppmätt minskning av mjältens volym efter 24 veckors behandling, en indikation på att patientens blodproduktion är på väg att förbättras. Det primära effektmåttet i fas 2-delen avläses efter 24 veckor men även efter 12 veckor sker en utvärdering, vilket öppnar för ytterligare ett delresultat under 2027.

Icke-blindad design underlättar kommunikation

Både den amerikanska och den europeiska studien har så kallade open label design (icke-blindad), alltså att både läkare och patient känner till att de får aktiv behandling, vilket gör kontinuerlig kommunikation om studiens säkerhet och resultat möjligt. Den europeiska studien inkluderar en grupp av patienter medan den amerikanska studien har två grupper, dels monoterapi för patienter som inte längre svarar på standard-of-care (SOC), dels patienter som visar svagt svar på SOC och som får tasquinimod som tillägg till SOC.

Den amerikanska studien använder det mer traditionella tumörrespons (objective response rate, ORR) som primärt effektmått.

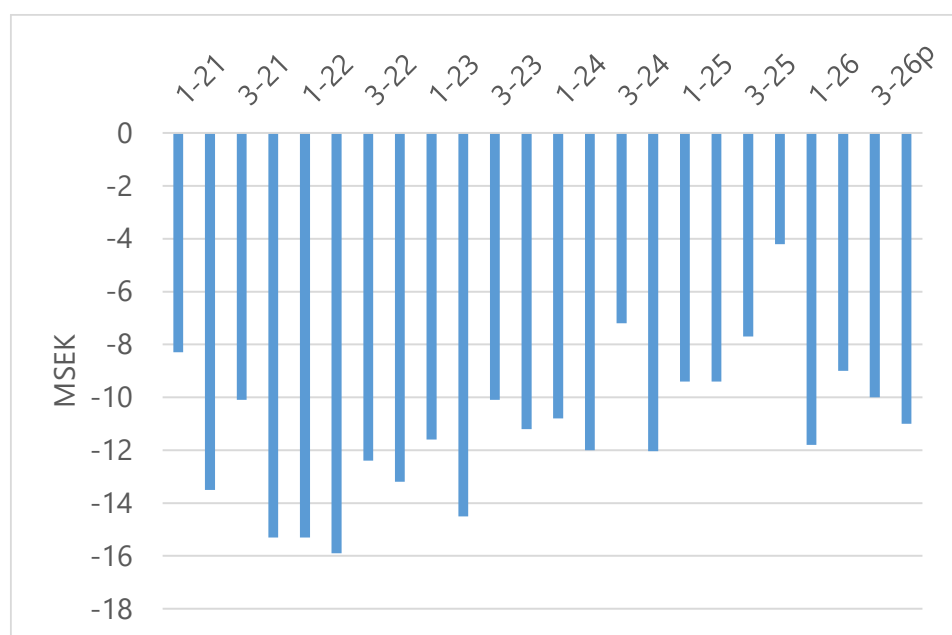
⁵ Breccia et al; Front Oncol. 2024 Jul 24;14:1382872.

Finansiell diskussion och basscenario

Active Biotech hade 53 miljoner kronor i kassan vid utgången av första kvartalet, ett belopp som kan räcka att finansiera verksamheten till inledningen på 4:e kvartalet 2027. Ledningen uppgav i samband med nyemissionen i november förra året att den garanterade emissionen skulle vara tillräcklig för att täcka rörelsekapitaländamål till slutet av 2027, vilket möjligen indikerar en något lägre förbrukningsnivå än vad som gällt historiskt.

Kassaförbrukningen i Q1 uppgick till 11,8 miljoner SEK, varav 3,4 miljoner avsåg transaktionskostnader i den nyligen genomförda emissionen.

Active Biotechs kassaförbrukning per kvartal



Källa: Bolagets resultaträkning, Analysguidens kalkyl och prognos

I vårt basscenario för aktien har vi optimistiskt antagit att Active Biotech kan lyckas nå ett avtal kring laquinimod före bolagets kassa sinar under 2027. Värderingen på 23 öre per aktie förutsätter alltså att inga fler nyemissioner görs under perioden 2026–28, vilket kan vara ett optimistiskt antagande. Vi noterar att VD under en längre period signalerat att bolaget söker partnerskap för att kunna driva laquinimod vidare. Det mest troliga år då att bolaget säljer projektet och vi sätter 85 procents sannolikhet på att ett sådant avtal kan ingås under 2026.

Vi antar att avtalet skulle inbringa en upfront om 5 miljoner USD, ett försiktigt antagande som återspeglar att projektet är i tidig klinisk fas.

I vårt huvudscenario behöver Active Biotech inte emittera nya aktier innan ett avtal kan ingås. Mest sannolikt är att ögonprojektet laquinimod står i fokus för förhandlingar och vår förhoppning är att ett avtal kan nås under året med en upfront på 5 miljoner USD, en låg siffra som ska reflektera projektets tidiga status. Antagandet förutsätter också att tidplanen för tasquinimod-studierna håller och att bolaget

har full täckning av de utgifter som är knutna till dessa. Dessa antaganden har en optimistisk underton men och i väntan på mer klarhet kring återstart och LION-publikationen behåller vi motiverat värde om 23 öre.

Storaffär med Eli Lilly i myelofibros

Värderingen av båda projekten återspeglar att de befinner sig i tidig klinisk fas och saknar proof-of-concept. Ett exempel på den stora värdeutvecklingen för projekt som närmare sig proof-of-concept är Eli Lillys uppköp av Ajax Therapeutics, vars ledande projekt är en ny typ av JAK-hämmare för behandling av myeloproliferativa neoplasmer, t ex myelofibros. Ajax mest framskridna substans befinner sig i sedan 2024 i fas 1.

Eli Lilly, som sedan tidigare är delägare i Ajax Therapeutics, betalar en okänd uppfört. Beroende på milstolpar i projekten kan den totala ersättning uppgå till 2,3 miljarder USD.

Summering av projektvärden i basscenario

| | Totalt värde (MSEK) | Utslaget på antal aktier (SEK) | Sannolikhet godkänt | Sannolikhet att nå fas 3 | Topp-försäljning (MUSD) | WACC |
|--------------------|----------------------------|---------------------------------------|----------------------------|---------------------------------|--------------------------------|-------------|
| Laquinimod | 336 | 0,13 | 15% | 34% | 522 | 16% |
| Tasq (myelofibros) | 254 | 0,10 | 7% | 25% | 636 | 16% |
| Tasq (MM) | 0 | 0,0 | 0% | 0% | 0 | |
| Naptumomab | 37 | 0,01 | 3% | 15% | 828 | 17% |
| Administration | -23 | -0,01 | | | | |
| Summa* | 603 | 0,23 | | | | |

**) Ca 1/3 av underskottsavdrag på brutto 3,4 mdr kr är taget i anspråk
Beräknat på aktier antal, mln 2 636*

Analysguidens prognoser och antaganden

En mindre försening i studierna och uteblivet licensavtal kan leda till att bolaget behöver göra en bryggemission i slutet av året, vilket återigen skulle ge stor utspädning och sänka motiverat värde med 10–15 öre, beroende på teckningskurs.

Antaganden vid nuvärdesberäkning av F&U-portfölj

| Laquinimod | | 2025p | 2026p | 2027p | 2030p | 2031p | 2032p | 2033p | 2034p | 2035p |
|-----------------------------|-------------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|
| Utvecklingskostnader, Mkr | | 12 | | | | | | | | |
| Försäljning, USDm | | | | | | 92 | 186 | 375 | 474 | 517 |
| Antal patienter, målmarknad | | | | | 125 000 | 125 000 | 125 000 | 125 000 | 125 000 | 125 000 |
| Antagen andel | | | | | 0% | 5% | 10% | 20% | 25% | 27% |
| Pris/behandling, USD | | | | | 14 568 | 14 714 | 14 861 | 15 010 | 15 160 | 15 312 |
| Milestones, USDm | 250 totalt | 0 | 5 | 0 | 0 | 100 | 0 | 50 | 0 | 30 |
| Royalty, USDm | 10% | 0 | 0 | 0 | 0 | 9 | 19 | 38 | 47 | 52 |
| Sannolikhet för godkänt | 15% | | | | | | | | | |
| Riskjustering | 100% | 85% | 85% | 85% | 15% | 15% | 15% | 15% | 15% | 15% |
| Riskjust intäkter, SEKm | -7 | 0 | 43 | 0 | 0 | 167 | 28 | 134 | 72 | 125 |
| WACC | 16% | 0 | 43 | 0 | 0 | 80 | 9 | 38 | 18 | 27 |
| Nuvärde, SEKm | 336 | | | | | | | | | |
| Utspätt per aktie | 0,13 | | | | | | | | | |
| Antal aktier, mln | 2 636 | | | | | | | | | |
| Nuvarande antal aktier, mln | 1 230 | | | | | | | | | |

| Tasquinimod, PMF | | 2025p | 2026p | 2027p | 2030p | 2031p | 2032p | 2033p | 2034p | 2035p |
|-----------------------------|-------------------|------------|------------|------------|-----------|-----------|------------|------------|------------|------------|
| Utvecklingskostnader, Mkr | | 15 | 18 | | | | | | | |
| Försäljning, USDm | | | | | | 0 | 151 | 315 | 636 | 964 |
| Antal patienter, målmarknad | | | | 12 299 | 13 439 | 13 842 | 14 258 | 14 685 | 14 685 | 14 685 |
| Antagen andel | | | | 0% | 0% | 0% | 5% | 10% | 20% | 30% |
| Pris/behandling, USD | | | | 202 000 | 208 121 | 210 202 | 212 304 | 214 427 | 216 571 | 218 737 |
| Milestones, USDm | 375 totalt | 0 | 0 | 0 | 50 | 0 | 0 | 75 | 0 | 100 |
| Royalty, USDm | 12% | 0 | 0 | 0 | 0 | 0 | 18 | 38 | 76 | 116 |
| Sannolikhet för godkänt | 7% | | | | | | | | | |
| Riskjustering | 100% | 25% | 25% | 25% | 7% | 7% | 7% | 7% | 7% | 7% |
| Riskjust intäkter, SEKm | 0 | 0 | 0 | 0 | 37 | 0 | 14 | 84 | 57 | 160 |
| WACC | 16% | 0 | 0 | 0 | 21 | 0 | 6 | 30 | 18 | 43 |
| Nuvärde, SEKm | 254 | | | | | | | | | |
| Utspätt per aktie | 0,10 | | | | | | | | | |
| Antal aktier, mln | 2 636 | | | | | | | | | |
| Nuvarande antal aktier, mln | 1 230 | | | | | | | | | |

Analysguidens prognoser

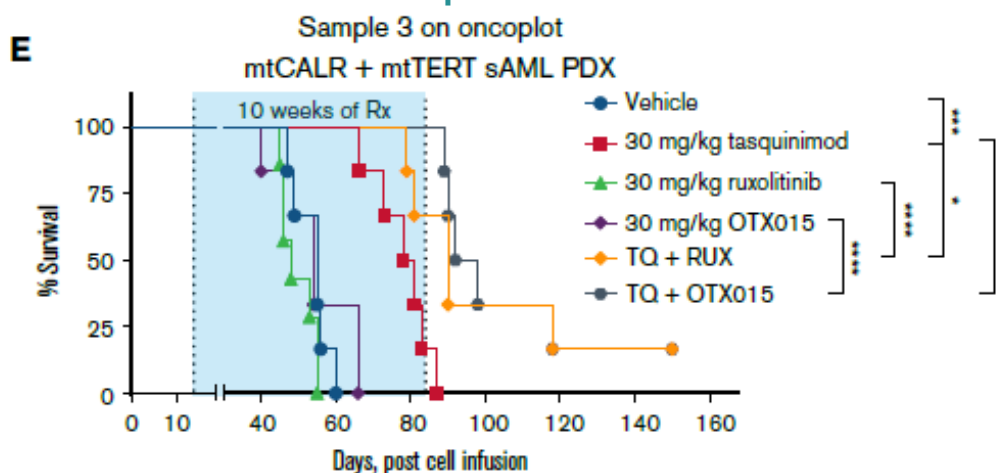
Appendix – Baserat på tidigare rapport

Musmodell ger fördel för tasquinimod

I en artikel publicerad i november⁶ beskriver amerikanska forskare från cancercentret MD Anderson den nya verkningsmekanism för behandling av myeloproliferativa neoplasmer som Active Biotechs substans tasquinimod kan erbjuda. Med transgena musmodeller och vävnadsprover från patienter visar forskarna den roll som målproteinerna S100A9 och S100A8, så kallade alarminer, har på tillväxt hos tumörer i blodet.

Målproteinerna binder bland annat vid receptorerna TLR4 och RAGE, två inflammationsdrivande faktorer i flera olika sjukdomar. Forskarna visar att tasquinimod blockerar signalen genom att binda vid målproteinerna. Flera tidigare försök har visat att patienter med myeloproliferativa sjukdomar, däribland myelofibros, har förhöjda värden av olika S100A-proteiner.

Överlevnad för NSG-mus i tasquinimod-studie



Källa: Schneider et al; Hemasphere, May 2025

Bland de många experiment som redovisas i artikeln finns en musmodell på så kallade NSG-möss som injicerats med cellprover från patienter med en sen form av myelofibros som kallas sekundär akut myeloid leukemi (sAML). Bilden ovan visar att tasquinimod (TQ) i kombination med den JAK-hämmaren ruxolitinib (Jakafi, Incyte) och den experimentella BET-hämmaren OTX015 (birabresib, MSD) hade en synergistisk effekt på mössens överlevnad. Den röda grafen i tabellen ovan visar också att tasquinimod monoterapi efter tio veckors behandling hade signifikant effekt på mössens överlevnad jämfört med placebo (vehicle).

Författarna visar i andra försök att tasquinimod inte påverkade friska CD34-celler eller stromaceller vid akut sjukdom, så kallad blastic phase, vilket kan indikera god tolerabilitet. De sammanfattar resultaten med att de styrker fortsatta studier av effekten av tasquinimod som monoterapi eller i kombination med andra läkemedel vid behandling av återfall av akut leukemi, en indikation som dock inte är aktuell i den pågående Anderson-studien.

⁶ Fiskus et al; Blood Advances, volume 9, number 21

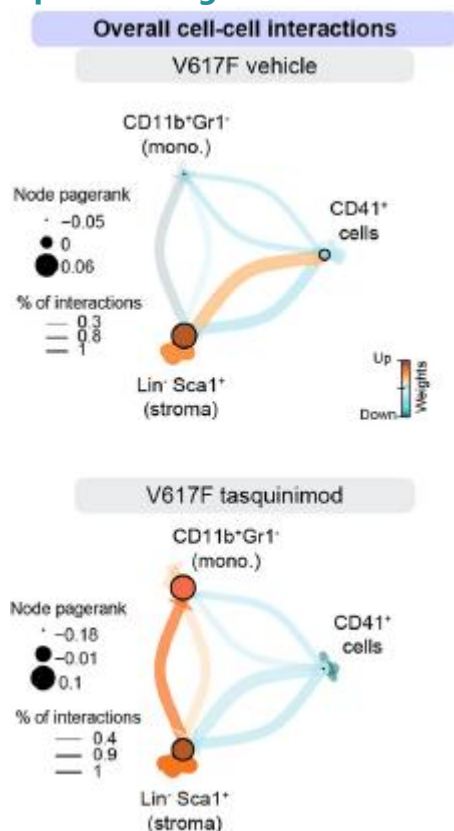
Europeiska forskare kartlägger effekt i benmärg

I en annan nyligen publicerade artikel kartlägger en holländskt forskargrupp den signalering (cross-talk) som driver på bildandet av fibrotisk vävnad i patienter med MPN⁷. Denna inflammatoriska process startar i muterade blodbildande stamceller i benmärgen (hematopoietic stem cells, HSC) och försämrar benmärgen centrala roll i bildandet av nya blodceller.

Genom att blockera målproteinet S100A9 med tasquinimod kan forskarna visa att den fibrotiska uppbyggnaden i tumörens omgivning, de så kallade stromacellerna, stoppas i möss. I möss med utslagen S100A9-gen skedde ingen uppbyggnad av fibrotisk vävnad. Tidigare studier har visat att höga nivåer av S100A8 och S100A9, de protein som tasquinimod blockerar, är involverade i resistensutveckling mot ett befintligt läkemedel för AML, venetoclax.

Bilden nedan visar hur signaleringen mellan den maligna HSC-klonen V6117F och olika celltyper påverkas av tasquinimod. I den övre bilden visas styrkan i signalerna mellan olika celltyper när den fibrotiska process pågår i musmodellen. Den nedre halvan av bilden visar att tillägg av tasquinimod ändrar mönstret så att sjuka CD41-celler inte längre bidrar till uppbyggnad av fibrotisk vävnad.

Tasquinimod påverkar signal från benmärgsceller



Källa: Schneider et al; Hemasphere, May 2025;

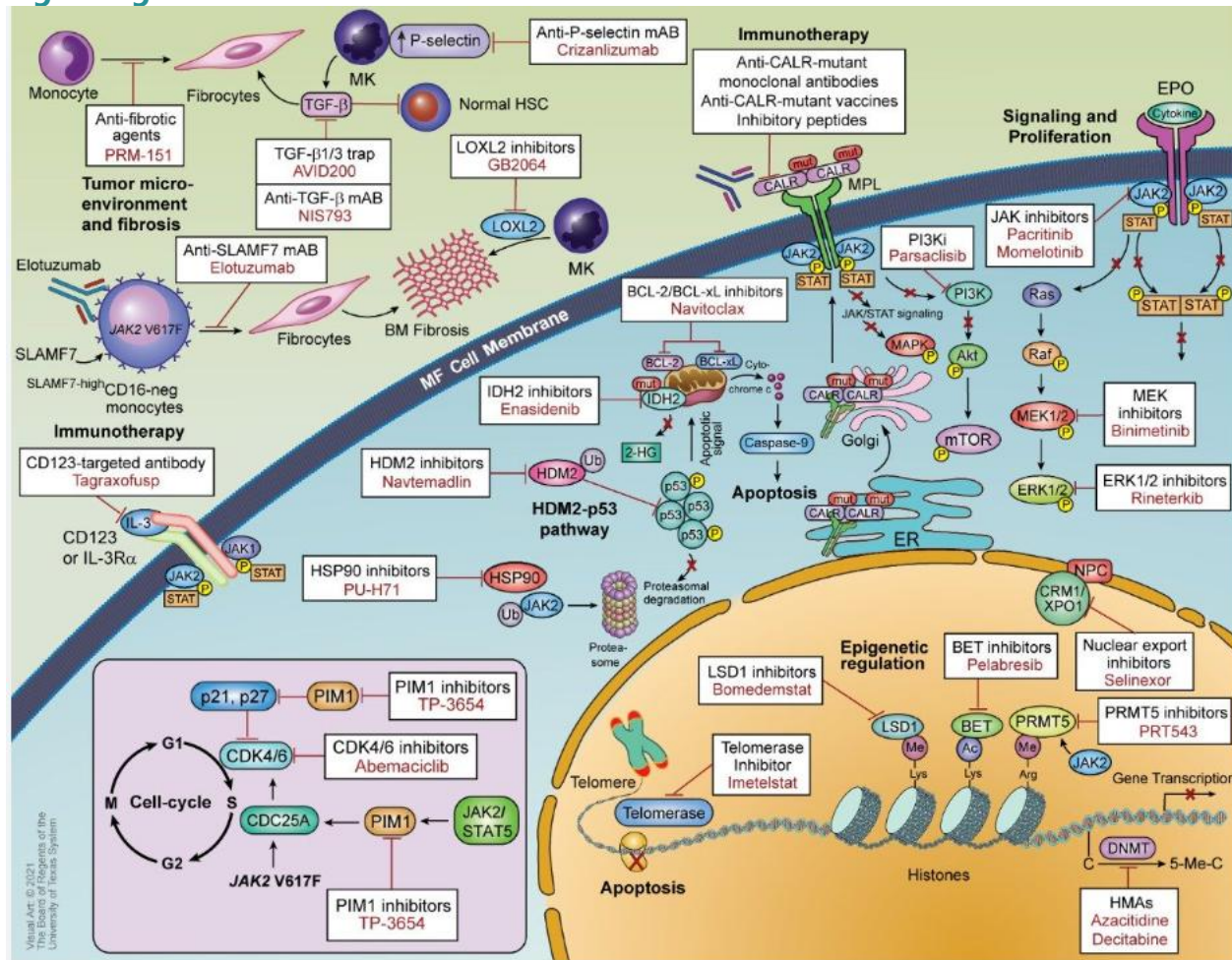
⁷ Schneider et al; Hemasphere, May 2025; DOI: 10.1002/hem3.70179

Tasquinimod potentiellt first-in-class

MD Anderson i Houston, Texas, har i tidigare forskningslitteratur beskrivit de olika signalvägar som MPN-sjukdomar kan angripas på. I en artikel från 2022 visade forskare upp ett stort antal läkemedelskandidater som verkar på olika målprotein, men inget av dessa verkade direkt blockera S100-proteinerna på samma sätt som tasquinimod.

Principskissen nedan är hämtad från artikeln och vi spekulerar i att tasquinimod skulle kunna placeras uppe till vänster bland de extracellulära mekanismer som påverkar fibrotisk vävnadsbildning och andra inflammatoriska reaktioner. Bland författarna till studien finns Lucia Masarova, principal investigator för den pågående tasquinimod-studien i USA.

Signalvägar som studeras för att hindra MPN



Källa: Chifotides et al; Clinical Lymphoma Myeloma & Leukemia 2022;22(4):210-223

Laquinimod i komplex vävnad

LION-studien, som förra året presenterades på årskonferensen för American Academy of Ophthalmology, visar att Active Biotechs substans laquinimod tar sig hela vägen genom ögat. Forskarna kunde mäta upp 7–41 nanogram/mL i ögats glaskropp av den dagliga dos om 0,6–1,8 mg laquinimod som droppades i ögat under en fjortondagarsperiod.

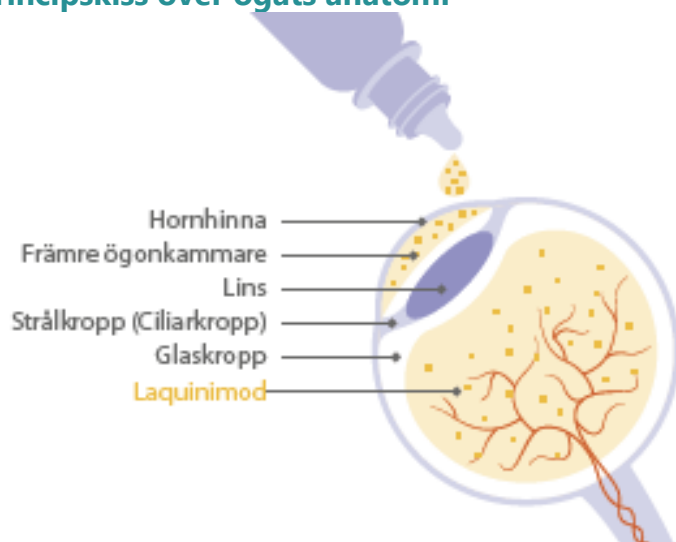
Vi känner inte till andra projekt med ögondroppar under utveckling för att behandla de bakre delarna av ögat. Om Active Biotech lyckas övertyga en partner om styrkan i LION-studien tror vi bolaget kan nå ett licensavtal inom 6–9 månader.

Ögats anatomi en utmaning för nya substanser

En av Active Biotechs konkurrenter inom oftalmologi, det israeliska bolaget Tarsier Pharma, ligger i en fas 3-studie med en peptid, dazdotuftide formulerad som ögondroppar. Studien inkluderar patienter med uveit i ögats främre, ytliga delar.

När det gäller behandling av uveit i ögats bakre delar uppfattar vi att Tarsier valt att satsa på en spruta, så kallad intravitreal injektion. Valet kan vara betingat av de utmaningar som ögats olika skikt medför vid transport av ett läkemedel till de bakre delarna, den så kallade glaskroppen. Fördelarna med en dropp-formulering, om utmaningarna kan övervinnas, skulle vara stora.

Principskiss över ögats anatomi



Källa: Active Biotechs årsredovisning

Högre prognos för ögonmarknad

I Active Biotechs senaste presentation daterad augusti refererar bolaget till en ny prognos för marknaden för icke-infektiös uveit i ögats bakre delar. Rapporten togs fram av GlobalData Report i mars och räknar med en försäljning inom detta område på 1,5 miljarder USD under år 2033. Beräkningen är baserad på värdet i de sju största läkemedelsmarknaderna, alltså en del av den totala världsmarknaden. I Active Biotechs årsredovisning refererade bolaget till GlobalDats tidigare rapport som skissade på en marknad om 800 miljoner USD vid 2028 på världens nio största marknader.

Icke-infektiös uveit i ögats bakre delar (non-anterior non-infectious uveitis, NANIU) är en ovanlig och allvarlig sjukdom, som utan behandling ofta leder till blindhet. GlobalData uppskattar att ca 240 000 personer är drabbade på världens sju största marknader, vilket bör motsvara ca 200 personer per miljon invånare. Förekomsten av yttlig uveit (anterior non-infectious uveitis) är fyra till fem gånger större än för NANIU.

Första linjens behandling sker med olika typer av kortikosteroider, inledningsvis ofta som piller, alltså systemiskt. Denna behandling leder ofta till de biverkningarna, t ex i mage och hud. Patienterna kan då växlas över på lokal behandling, t ex ögonimplantat av dexamet-hason och fluocinolone, två olika kortikosteroider.

Målsättningen för sjukvården är att undvika kronisk behandling med steroider. I ca 40 procent av behandlingarna uppstår problem, såsom biverkningar och avtagande effekt. Denna grupp behandlas i regel med immunsuppressiva medel, t ex methotrexate eller sirolimus, eller TNF-antikropp (Humira, adalimumab).

Få nya läkemedel under utveckling

Vi har funnit få nya läkemedel under utveckling för icke-infektiös uveit i ögats bakre delar. Längst fram verkar en TKI-hämmare vara, brepocitinib, som inledde en fas 3-studie under förra året och som har fått ett fast-track av FDA.

Brepocitinib är en selektiv hämmare av janus kinas 1 (JAK1) och tyrosinkinas 2 (TYK2) som ges i piller en gång dagligen. Den testas mot ett flertal autoimmuna sjukdomar, dit också uveit räknas. Fas 3-studien, CLARITY, omfattar 300 patienter och ska rapporteras under 2027.

Ett annat projekt inom NANIU drivs av Tarsier Pharma, som på sin hemsida skriver att substansen dazdotuftide utvecklas som injektion i glaskroppen, intravitreal. Projektet har inte inlett kliniska studier eftersom bolaget prioriterar sin formulering med ögondroppar för behandling i de främre delarna av ögat. Att bolaget inte tycks utveckla ögondroppar för de bakre delarna ser vi som ett resultat av svårigheterna att farmakokinetiskt övervinna ögats olika barriärer och nå hela vägen från hornhinna till näthinna som avgränsar glaskroppen i bak-kant.

Biotillgänglighet med laquinimod

Active Biotech befinner sig sedan 2022 i klinisk utveckling med en ögondrops-formulering av laquinimod. En första fas 1-studie på 54 friska frivilliga presenterades 2023 och visade god säkerhetsprofil. En deltagare avbröt provningen vid upprepade doser på 0,6 mg efter rapport om måttlig huvudvärk, en biverkan som inte ansågs tillräckligt allvarlig för att påverka projektet. Ett skäl till detta beslut bör vara att bolaget har omfattande säkerhetsdata på laquinimod 0,6 mg från de fas 3-studier som genomförts på multipel skleros med över tusen patienter på upprepade doser.

I LION-studien, som omfattade tio patienter, redovisades data vid IOIS tidigare och på årskongressen för American Academy of Ophthalmology. I det abstrakt som presenterades på AAO-mötet visar forskarna att små mängder av laquinimod tränger genom ögats komplexa struktur efter att droppar placerats på hornhinnan.

Koncentrationer av laquinimod i LION-studien

| mg/dag, 10 pat. | Vitreous (ng/mL) | Aqueous (ng/mL) | Plasma (ng/mL) |
|--------------------|---------------------|--------------------|-------------------|
| 0,6 | 6,9 | 508 | 153 |
| 1,2 | 26,1 | 1943 | 332 |
| 1,8 | 41,3 | 3640 | 563 |

Källa: Poster 718, American Academy of Ophthalmology 2025

Tabellen ovan visar distributionen av den aktiva substansen laquinimod i olika delar av ögat. Kolumnen Vitreous motsvarar den glaskropp i ögats bakre del som tagits ut i samband med så kallad vitrektomi, ett kirurgiskt ingrepp då glaskroppen avlägsnas och ersätts med saltlösning.

Av tabellen kan utläsas att små mängder, mellan 7–41 ng/mL, uppmättes i glaskroppen efter 14 dagars dosering. Nivån motsvarar en procent av den substans som nådde in i den främre vätskefyllda kammaren bakom hornhinna (Aqueous), vilket avspeglar svårigheterna i att utveckla en ögondropp-formulering för ögats bakre delar. Enligt bolagets beräkningar är den mängd som uppmätts i glaskroppen likvärdig med de doser som hade farmakologisk effekt på patienter med multipel skleros i de tidigare fas 3-studierna.

Nivån i glaskroppen, som har en volym på ca 4 mL, kan också jämföras med den dos som droppades i ögat, 0,6–1,8 mg per dag. Av denna dagliga dos uppmättes ca en tusendels procent i glaskroppen. En förklaring till denna stora förlust är, utöver ögats komplexa anatomi, att en del av dosen sköljs bort i tårvätska.

Jämförelse kan också göras med de data på kaninöga som presenterades under 2023, men denna försvåras av att djurdata mättes i näthinna, inte i glaskroppen. Enligt poster uppnåddes 10 µM i näthinna på kanin, den hinna som avgränsar ögat i bakkant. Vi översätter detta till 3,6 µg/mL, alltså långt över de värden som uppmättes i LION-studien.

Vi tolkar den stora skillnaden som att glaskroppen är mer svårtillgänglig än näthinna. En barriär mellan näthinna och blodcirkulation försvårar tillträdet ytterligare. Dessutom testas höga doser i djurstudier för att utvärdera säkerhet. Enligt Active Biotech är den mängd som uppmätts på deltagare i LION-studien farmaceutiskt aktiv, alltså anti-inflammatorisk, baserat på fördjupade studier som gjordes på patienter med multipel skleros i fas 3.

Stor fördel med ögondroppe

En vanlig behandling av bakre uveit är implantat av kortikosteroider, som injiceras i glaskroppen med spruta. Fördelen med några av dessa implantat är att de behöver upprepas med långa mellanrum, mellan 6 månader och tre år, och att substanserna som används har tydlig anti-inflammatorisk effekt.

Bland nackdelarna märks risken att implantaten kan höja trycket i ögat och leda till katarakter, en svår ögonsjukdom som bryter ned

ögats lins och leder till blindhet. Injektion med spruta kan också leda till oönskade blödningar i ögat.

Av dessa skäl skulle utvecklingen av en ögondroppe kunna ha stora fördelar. Vi kan i dagsläget inte hitta några andra projekt för utveckling av en ögondroppe vid behandling av uveit i ögats bakre delar. En sådan produkt skulle kunna användas både i kombination med steroider, för att minska exponering mot höga steroid-doser, och som andra linjens behandling på steroid-resistenta patienter.

Patentskydd för laquinimod

Substanspatenten för laquinimod har redan löpt ut och bolagets ”repositioning” av substansen mot ögonsjukdom från att ursprungligen testats på multipelt myelom vilar på ett ständigt arbete med patentering av nya data.

Under 2024 tillkom nya två laquinimod-patent. Europeiska patentverket beviljade en patentansökan för ögondroppsförmulering och det amerikanska patentverket beviljade patentansökan för laquinimod som behandling av ögonsjukdomar associerade med onormal kärltillväxt.

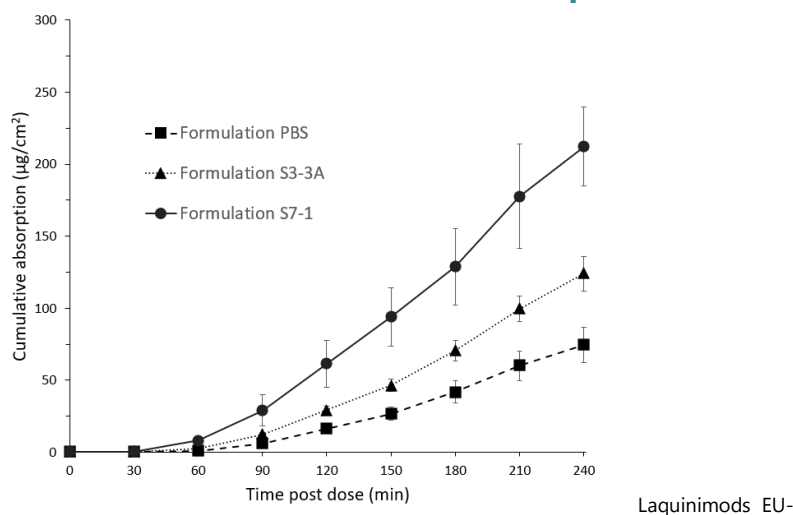
Active Biotech meddelade den 23 oktober 2024 att Europeiska patentverket beviljat patentansökan för ögondroppsförmulering av laquinimod Active Biotech meddelade den 28 januari 2025 att Amerikanska patentverket beviljat patentansökan för laquinimod i ögonsjukdomar Active Biotech meddelade den 13 november 2024 att ett patent för laquinimod vid ögonsjukdomar kommer att beviljas i USA

Utökat patent förlänger exklusivitet

I bolagets nyligen publicerade EU-patent 4 312 986 skriver forskarna att biodistribution av aktiva substansen över hornhinnan (corneal barrier) till de bakre delarna av ögat är förknippat med stora utmaningar. Hornhinnan är en komplicerad vävnad som består av olika fack med varierande fett- och vattenlöslighet.

Patentdokumentet visar bland annat hur formuleringen av laquinimod succesivt passerar genom hornhinnan på de kaniner som studerats och även genom hornhinna från kor. De är oklart för oss hur det nya patentet skiljer sig från tidigare produktpatent som bolaget har tagit upp i årsredovisningen och som löper ut fram till 2033. Det nya EU-patentet sträcker sig till 2042, en avsevärd förlängning jämfört med tidigare.

Akkumulering av substans i hornhinna på ko



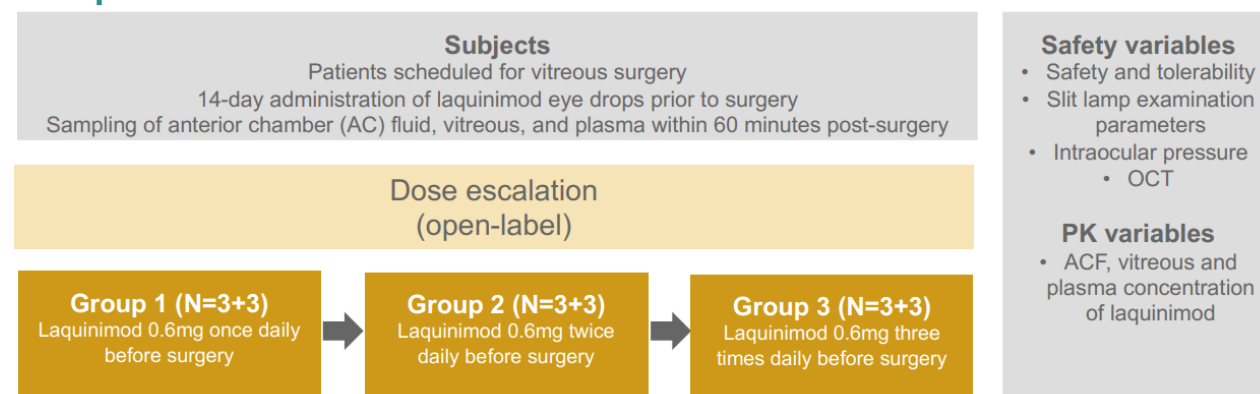
Grafen ovan är hämtad ur det nyligen godkända formuleringspatentet för laquinimod. Den visar ackumulering av aktiv substans över en hornhinna från ko in vitro med hjälp av tre olika formuleringsmetoder. Graferna visar att formuleringen klarar att sig igenom den hårda vävnaden.

Presentation av LION-studien

Under en session på kongressen för International Ocular Inflammation Society (IOIS) presenterade en av prövorna i LION-studien ner data kring Active Biotechs innovativa laquinimod-projekt. Föredraget ingick i den industri-sponsrade delen av mötet och titulerades Laquinimod as Potential Therapeutic Approach for Non-Infectious Uveitis: What Have We Learned from the LION Study.

Denna fas 1-studie, som också kallas biodistributionsstudien, inkluderade tio deltagare, något färre än i den ursprungliga planen. Deltagarna behandlades under en 14-dagarsperiod med tre olika dagliga doser. Nio av deltagarna kunde utvärderas. I denna grupp kunde prövningsledarna visa god dosrespons, med stigande koncentrationer vid stigande dos, och att terapeutiska mängder av laquinimod nådde in i ögats glaskropp.

Principskiss av LION-studien



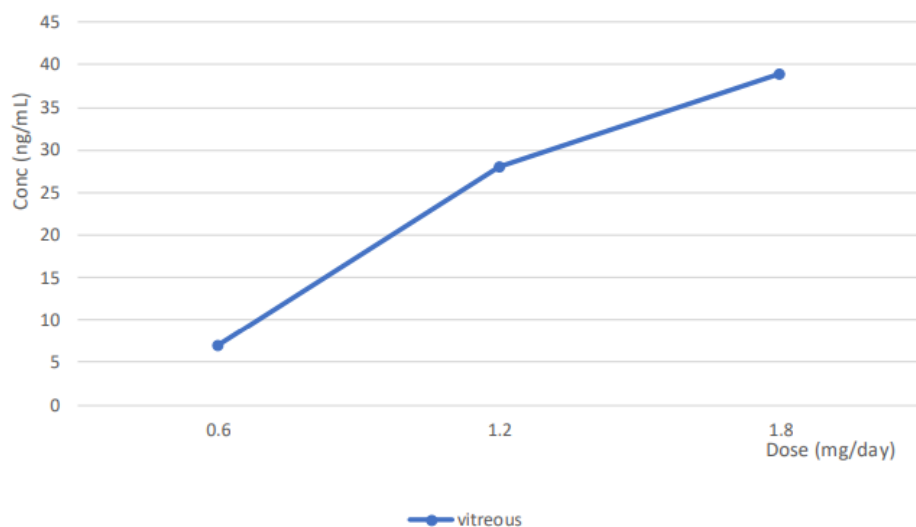
Active Biotechs företagspresentation

LION-data jämfördes med topikala steroider

Under presentationen visade Dr Dalia El Feky, som ingår i gruppen kring LION-studien, att laquinimod tolererades väl och att inga allvarliga biverkningar registrerades, trots systemisk spridning. Resultatet visade också att mängden fritt laquinimod som uppmättes i glaskroppen var lika höga eller översteg de terapeutiska nivåer i hjärnan som uppnåddes när laquinimod tidigare testades i fas 3-studier för behandling av multipel skleros

Jämförelser gjordes med ögondroppar av kortikosteroider, en av de läkemedelstyper som i dagsläget dominerar behandling av ögoninflammationer. En sådan steroid, ketorolac, har i en tidigare studie visat koncentration på 2,8 nanogram/mL i ögats glaskropp, vilket jämfördes med nivåer mellan 6,9 och 41,3 ng/mL för de tre olika doserna av laquinimod i LION-studien.

Dosberoende koncentration i ögats glaskropp



Källa: IOIS-presentation av Dr El Feky, Byers Eye Institute, Stanford Ophthalmology

Behandling av uveit domineras av kortikosteroider

Målsjukdom för laquinimod-projektet utgörs av icke-infektiösa inflammationer bakom ögats främre partier. Denna grupp ingick inte i LION-studien och återstår att testa. Icke-infektiös uveit är en bred grupp av sällsynta ögonsjukdomar, som orsakas av olika patologiska mekanismer, men som alla kännetecknas av intraokulär inflammation⁸. Inflammationen påverkar olika delar av ögat och inkluderar främre uveit (ingår inte i laquinimods målgrupp), intermediär uveit (ingår, baserad i glaskroppen), bakre uveit (ingår, baserad i näthinna och/eller åderhinnan) och panuveit (som involverar alla avdelningar av ögonkroppen).

Läkemedelsbehandlingen domineras av äldre preparat, såsom kortikosteroider, immunmodulerande läkemedel och ett par biologiska medel. Systemisk behandling, t ex i tablettform eller subkutant, dominerar men olika substanser kan också levereras lokalt, i form av ögondroppar, injektioner eller implantat.

⁸ Shields et al. Journal of Ophthalmic Inflammation and Infection (2025); 15:49

Flera forskningsprojekt i fas 3 testar olika former av lokal applikation av kortikosteroider-baserade substanser. Studier har visat att dessa lokalt placerade kortikosteroider är effektiva, men med komplikationer som inkluderar förhöjt intraokulärt tryck och grå starr. Ett litet antal systemiska immunmodulerande läkemedel används för att behandla icke-infektiös uveit har studerats i kliniska fas 3-studier.

Utöver de ovannämnda biverkningarna har behandling med kortikosteroider andra negativa effekter, främst på metabolism och skelett. Ca 40 procent av diagnoserna med icke-infektiös uveit svarar inte på kortikosteroid-behandling och i detta fall prövas ofta antikroppar, t ex adalimumab.

Proof-of-concept återstår att etablera

LION-studien och åtföljande presentation på IOIS-mötet är en framgång för Active Biotech i bolagets strävan att hitta en samarbetspartner för att avancera projektet till fas 2. En proof-of-concept studie med effektdata på sjukdom återstår för att säkerställa att laquinimods anti-inflammatoriska effekt faktiskt kan hjälpa patienter med inflammatorisk ögonsjukdom.

Ordförande för IOIS, Dr Quan Dong Nguyen, som också är huvudprövare i LION-studien, argumenterar starkt för att utfallet i LION-studien motiverar att substansen testas på sin målgrupp i en fas 2-studie. Active Biotech har gjort klart att bolaget inte avser att ta projektet vidare på egen hand och att ett partnerskap är målsättningen, helst under 2025.

Dr Nguyen understryker att många beredningar av anti-inflammatoriska substanser i ögondroppar har testats men att ögats olika barriärer, som hornhinnan, gör det väldigt svårt att få substanserna att sprida sig längre in i ögat.

Målet är behandling av ögonkroppens bakre del

Laquinimod ögondroppar är tack vare de två genomförda fas 1-studierna med stor sannolikhet färdigt att inleda en fas 2 POC-studie om ett partnerskap eller försäljning av projektet först kan realiseras. Ett licensavtal föregås av omfattande 'due diligence' vilket förutsätter att all data är på bordet, i synnerhet i ett tidigt projekt som saknar data på den tilltänkta målgruppen. I vårt huvudscenario antar vi att starka data i LION-studien och väldokumenterad toxikologi gör att ett avtal kan tecknas åtminstone under 2026. Vi sätter 85-procentig sannolikhet för en upfront på 5 MUSD, en relativt låg upfront, motiverad av att effektdata ännu saknas och att projektet inte testats i den avsedda målgruppen, patienter med icke-infektiös uveit.

Det totala värdet av ett licensavtal uppskattar vi till 250 miljoner USD med en möjlig lansering av en produkt under år 2031. Vi räknar med en toppförsäljning på 500 miljoner USD och sätter sannolikheten för att lyckas med detta scenario till femton procent.

Tasquinimod i multipelt myelom

Tasquinimod, bolagets andra helägda projekt, beskrivs som en oral hämmare av signalproteinet S100A9, ett protein som uttrycks av celler i benmärgen. Denna klass av proteiner, som också kallas alarminer, främjar tillväxt av myelom-celler och bidrar till att skapa resistens mot behandlingar av benmärgssjukdom.

Under en poster-session på årets kongress för American Society of Clinical Oncology (ASCO), ett ledande möte för klinisk cancerforskning, presenterade huvudprövaren Dan Vogl slutresultat för tasquinimods studie på patienter med multipelt myelom. Studien inleddes 2020 och har kontinuerligt redovisat resultat i fas 1 och 2. I den avslutande fas 2a-delen inkluderades 17 patienter som genomgått flera tidigare behandlingar med standardläkemedel utan att stoppa tumören. Vid studiestart behandlades deltagarna med standardkombinationen ixazomib (en proteasom-hämmare), lenalidomid (Revlimid, en IMiD) och dexametason, en kombination förkortad IRd.

I genomsnitt hade deltagarna fått sju tidigare kombinationer och återfallit i tumörväxt. Tolv av deltagarna var refraktära (okänsliga) mot den senaste föregående behandlingen med proteasom-hämmare och IMiD. I denna grupp svårt sjuka deltagare uppvisade tillskottet av tasquinimod en partiell respons (20 månader) och tre minimala tumorsvar (två under en månad och en under sju månader), vilket kan översättas i en Clinical Benefit Ratio (CBR) på 33 procent (4/12).

I denna grupp om tolv patienter noterades också en patient med sju månaders stabil sjukdom, vilket dock inte mötte kriterierna för att inkluderas i CBR. I kvarvarande grupp om fem patienter som inte var refraktära mot senaste behandling registrerades fyra minimala tumorsvar, men dessa gick inte säkert att knyta direkt till tasquinimod. De fem sistnämnda patienter var refraktära mot standardsubstanserna var för sig och måste betecknas som mycket svårbehandlade.

Preliminär effekt står sig väl mot historiska data

Denna typ av klinisk data på ett fåtal svårt sjuka cancerpatienter är svår att utvärdera. Begreppet minimal respons (MR) är inte ett standardiserat effektmått utan mer en indikation på effekt. Som en möjlig jämförelse kan en äldre fas 2a-studie med lenalidomid (Revlimid) lyftas fram där ORR, som inkluderade MR, uppgick till 24 procent.⁹ I en liknande fas 2-studie på ixazomib, när substansen lades till en dubblat av pomalidomide och dexametason, uppvisades en ORR på 23 procent, men då utan att MR räknades.¹⁰

Olika design i påbörjade MF-studier

MD Anderson-studien är en icke-randomiserad och oblandad fas 2-studie på patienter med olika former av myelofibros: primär myelofibros (PMF), post-polycythemia vera myelofibros (post-PVMF) och post-essential thrombocytosis myelofibros (post-ET MF). De två senare formerna anses vara mer långsamt fortskridande former, men variationen för enskilda patienter är stor. Om förloppet inte

⁹ Richardson et al; Blood 2006 Nov 15;108(10):3458-64.

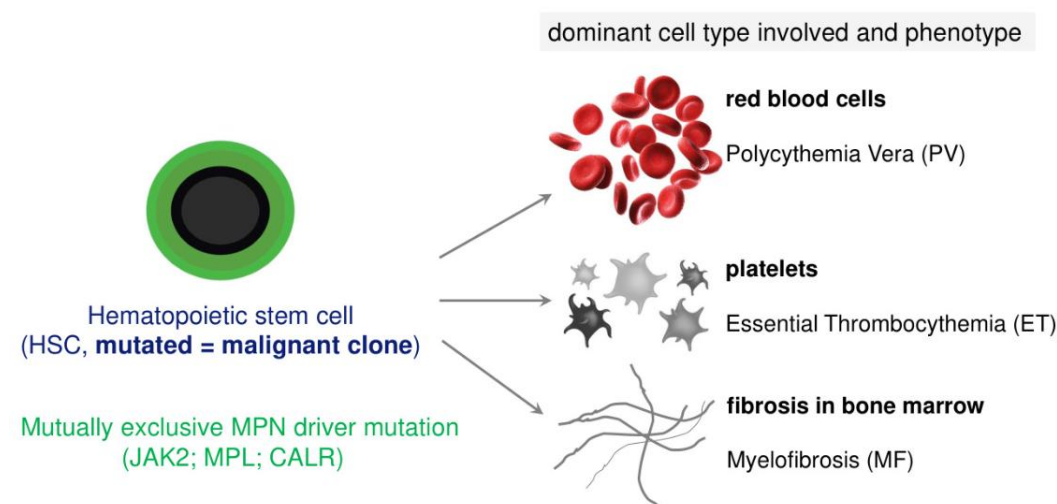
¹⁰ Voorhees et al; Blood Adv, 2024 Jul 29;8(19):5039-5050

bromsas i tid kan sjukdomen övergå i en mer dödlig form av blodcancer, akut myeloid leukemi (AML)

Två grupper inkluderas i USA-studie

Patienter som uppfyller Anderson-studiens kriterier delas in i två grupper. En grupp utgörs av deltagare på monoterapi som inte längre svarar på eller får försämrade blodvärden vid behandling med JAK-hämmaren ruxolitinib (Jakafi, Incyte Pharmaceuticals), det läkemedel som är standardbehandling när benmärgsoperation inte är möjlig. Dessa deltagare, som riskerar ett snabbt negativt förlopp, ska behandlas med tasquinimod monoterapi. I det utökade protokoll som MD Anderson nu planerar för ska även andra JAK-hämmare kunna ingå.

Den andra gruppen ska inkluderas patienter som får behandling med JAK-hämmare men inte svarar tillräckligt väl. En daglig dos av tasquinimod ska läggas till JAK-hämmare under sex upprepade behandlingscykler om 28 dagar. Primärt effektmått utgörs av objektiva tumörsvar (ORR), fullständigt eller partiellt, eller klinisk förbättring. Bland sekundära effektmått märks duration av behandlingssvar, effekt på benmärgsfibros och mätning av biomarkörer. Klassificering myeloproliferativa neoplasmer (MPN)



Källa: Rebekka Schneider-Kramann; audiocast, december 2023

Hög affärsaktivitet inom myelofibros

| Acquirer | Target | Deal economics (year) | Status of lead asset |
|---|---|---------------------------|--|
|  NOVARTIS |  | \$2.9B (2024) | Pelabresib MF P3 met primary endpoints Dec 2023 |
|  sobi rare strength |  | \$1.7B (2023) | Pacritinib approved for MF in 2022 |
|  |  | \$1.9B (2022) | Momelotinib (now approved) pre-registration with positive P3 results in MF announced |
|  |  | \$1.35B (2022) | Bomedemstat in P2 for ET, MF, and PV at time of acquisition, now P3 |
| Johnson&Johnson |  | \$935M + royalties (2014) | Imetelstat early P2 (N=20) in ET/PV at partnership announcement, now approved in low- and intermediate-risk MDS and P3 in MF |

Galecto , företagspresenation

FDA-godkända läkemedel mot myelofibros

| Drug | SVR \geq 35% (by imaging) | Notes |
|-------------|-----------------------------|--------------------------------|
| Ruxolitinib | ~42% | First-line |
| Fedratinib | ~37% | Option after or instead of rux |
| Pacritinib | ~29% | For low platelets |
| Momelotinib | ~25–40% | Also targets anemia |

Källa: FDA-godkända produktbeskrivningar

Måttet anges som andelen patienter som erhåller en SVR (Spleen Volume Reduction) på mer än 35 procent. Detta mått ligger på mellan 25 och 42 procent för godkända MF-behandlingar (se tabell nedan).

MD Anderson i Houston är en av de största och mest besökta cancercentren i USA men också det enda som ska sköta rekrytering av alla trettio tre patienter, vilket kan innebära ett långsamt förlopp. Enligt clinicaltrials.gov förväntas ett slutresultat under 2029. Under perioden fram till 2029 har prövarna möjlighet att presentera interimanalyser, bland annat futilitetstest.

Omskrivning av protokoll skapar förseningar men är inte en ovanlig åtgärd i tidiga kliniska prövningar. Active Biotech förutser inte några större förseningar i studiernas tidplaner. Den stora utmaningen för dessa studier är, i våra ögon, att lyckas hitta lämpliga patienter i den ovanliga population som ska studeras.

Båda PMF-studierna är öppna och icke-randomiserade, vilket gör att prövarna kan följa resultatet av behandlingarna kontinuerligt.

HOVON-studie inkluderar en grupp

Den europeiska HOVON-studien är en fas 1b/2-studie, som startar med en inledande säkerhetsvärdering på sex patienter och sedan går vidare med ytterligare fjorton patienter. Alla tjugo patienter ska utvärderas på effekt efter sex cykler av tasquinod-behandling, en tidsrymd på 24 veckor. Primärt effektmått är reduktion av mjältens storlek, ett vanligt kliniskt mått vid studier på MF-patienter.

Effekt på mjältstorlek och tumör i fokus

När säker dos är etablerad ska den europeiska studien i första hand studera behandlingseffekt på mjältens storlek (SVR). I den amerikanska studien utgörs det primära effektmåttet av tumörvolym (ORR). Båda studierna mäter primära effektdata efter 24 veckors behandling och ett fullständigt resultat dröjer till åtminstone 2027–29.

Disclaimer

Aktiespararna, www.aktiespararna.se, publicerar analyser om bolag som sammanställts med hjälp av källor som bedömts tillförlitliga. Aktiespararna kan dock inte garantera informationens riktighet. Ingenting som skrivs i analysen ska betraktas som en rekommendation eller uppmaning att investera i något finansiellt instrument. Åsikter och slutsatser som uttrycks i analysen är avsedd endast för mottagaren. Analysen är en så kallad Uppdragsanalys där det analyserade Bolaget tecknat ett avtal med Aktiespararna. Analyserna publiceras löpande under avtalsperioden och mot sedvanlig fast ersättning. Aktiespararna har i övrigt inget ekonomiskt intresse avseende det som är föremål för denna analys. Aktiespararna har rutiner för hantering av intressekonflikter, vilket säkerställer objektivitet och oberoende.

Innehållet får kopieras, reproduceras och distribueras. Aktiespararna kan dock inte hållas ansvariga för vare sig direkta eller indirekta skador som orsakats av beslut fattade på grundval av information i denna analys.

Investeringar i finansiella instrument ger möjligheter till värdestegringar och vinster. Alla sådana investeringar är också förenade med risker. Riskerna varierar mellan olika typer av finansiella instrument och kombinationer av dessa. Historisk avkastning ska inte betraktas som en indikation för framtida avkastning.

Analytikern Sten Westerberg äger inte och får heller inte äga aktier i det analyserade bolaget.

Ansvarig analytiker:

Sten Westerberg