

Cereno Scientific får FDA-klartecken att starta global Fas IIb-studie med CS1 vid pulmonell arteriell hypertension (PAH)

Cereno Scientific (Nasdaq First North: CRNO B), ett innovativt bioteknikbolag som utvecklar banbrytande behandlingar som förbättrar och förlänger livet för människor med sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar, meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har gett klartecken att initiera bolagets Fas IIb-studie med läkemedelskandidaten CS1 för behandling av pulmonell arteriell hypertension (PAH). FDA:s beslut möjliggör för Cereno att inkludera första patienten (FPI) i studien under det andra kvartalet 2026, med topline-resultat förväntade omkring det fjärde kvartalet 2028, beroende på rekryteringstakt. Klartecknet följer konstruktiva regulatoriska interaktioner och bygger på de gynnsamma säkerhets- och tolerabilitetsdata samt lovande sjukdomsmodifierande signaler som observerades i Fas IIa-studien. CS1 har även beviljats särlekemedelsstatus (ODD) och Fast Track-status i USA.

"Vårt mål med CS1 är att adressera de bakomliggande mekanismer som driver PAH, inte enbart hantera symtomen," säger Rahul Agrawal, CMO och Head of R&D på Cereno Scientific. "Den planerade Fas IIb-studien är utformad för att fastställa optimal dos inför en Fas III-studie och för att utvärdera CS1:s potential att på ett meningsfullt sätt minska pulmonell kärlresistans och förbättra funktionsförmåga när det ges som tillägg till dagens standardbehandlingar. Med de lovande signaler som observerades i vår Fas IIa-studie ser vi att CS1 kan erbjuda ett differentierat och sjukdomsmodifierande behandlingsalternativ för patienter som lever med denna sällsynta och ofta dödliga sjukdom."

Fas IIb-studien har den formella titeln "A Phase 2b, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled, Dose-Finding Study, to Compare the Efficacy and Safety/Tolerability of CS1 Versus Placebo When Added to Standard of Care for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension (PAH)". Det är en global multicenterstudie som inkluderar cirka 126 patienter med PAH som har stabil bakgrundsbehandling. Under de första 36 veckorna av behandlingen kommer deltagarna att randomiseras till att få CS1 i kapselform i någon av två dosnivåer eller matchande placebo en gång dagligen. Vid vecka 36 kommer samtliga deltagare att re-randomiseras: de som initialt fick CS1 kommer antingen att fortsätta på samma dos eller byta till placebo, medan de som initialt fick placebo kommer att tilldelas någon av de två CS1-dosgrupperna. Denna studiedesign säkerställer att alla deltagare får aktiv behandling under studiens gång och möjliggör att tidigare observerade sjukdomsmodifierande signaler för CS1 ytterligare kan utvärderas i en större och kontrollerad studie. Därefter fortsätter alla deltagare i en andra behandlingsperiod och uppföljning. Den totala studielängden är 60 veckor, inklusive screening och uppföljning. Studien kommer att utvärdera effekten av CS1 på pulmonell kärlresistans (PVR) vid vecka 36 via högerhjärtkateterisering, förändring i sexminuters gångsträcka (6MWD) vid vecka 36 samt ett brett spektrum av ytterligare utvärderingar, inklusive mått på hjärtfunktion, biomarkörförändringar, klinisk försämring, patientrapporterade utfall och farmakokinetik. Denna dosoptimeringsstudie planeras att genomföras i 10–12 länder i USA, Europa och Sydamerika vid cirka 65 kliniska center.

"Att erhålla FDA:s klartecken att gå vidare med vår Fas IIb-studie är en betydande katalysator för Cereno," säger Sten R. Sörensen, vd för Cereno Scientific. "Denna milstolpe stärker den kommersiella potentialen för CS1 och vår position som en ledare inom epigenetisk modulering för sällsynta kardiovaskulära sjukdomar samt skapar ytterligare momentum i våra

partneringsdiskussioner. Med Fast Track-status och globalt studiedeltagande ser vi tydliga möjligheter att påskynda utvecklingen mot en potentiellt sjukdomsmodifierande behandling som kan förbättra och förlänga livet för patienter med PAH.”

Cereno Scientific driver nu globala uppstartsaktiviteter inför studien, inklusive val av kliniska center, regulatoriska ansökningar i deltagande länder och operativ beredskap tillsammans med bolagets utvalda CRO-partner. Första patient in (FPI) i studien planeras till det andra kvartalet 2026, med topline-resultat förväntade omkring det fjärde kvartalet 2028, givet att rekryteringstakten fortskrider enligt plan. Detta markerar starten på det största och mest omfattande kliniska utvecklingsprogrammet i bolagets historia.

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 AB är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 08 december 2025 kl. 22:25 (CET).

Om PAH

PAH är en sällsynt, progressiv och livshotande sjukdom som kännetecknas av högt blodtryck i lungornas artärer, vilket leder till högersidig hjärtsvikt och förtida död. Dagens standardbehandlingar fokuserar främst på symtomlindring, vilket lämnar ett betydande medicinskt behov av sjukdomsmodifierande behandlingar som kan påverka sjukdomsförloppet och förbättra långsiktiga behandlingsresultat.

Om CS1

CS1 är en oralt administrerad histondeacetylshämmare (HDAC-hämmare) som utvecklas som en väl tolererad, sjukdomsmodifierande behandling för pulmonell arteriell hypertension (PAH) med en gynnsam säkerhetsprofil. Genom epigenetisk modulering riktar sig CS1 mot centrala sjukdomsdrivande mekanismer såsom sjukliga kärlförändringar, fibros och inflammation. CS1 har visat sjukdomsmodifierande potential i tidig klinisk utvärdering och utvärderas som tilläggsbehandling (utöver standardbehandling) med potential att förbättra behandlingsresultaten för patienter med stora medicinska behov. Läkemedelskandidaten har erhållit särsläkemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) både i USA och EU samt Fast Track designation av amerikanska FDA i augusti 2025, vilket understryker dess potential att möta ett allvarligt medicinskt behov.

CS1 har first-in-class-potential och befinner sig för närvarande i klinisk Fas II-utveckling.

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 grundläggande mekanismerna i sällsynta sjukdomen pulmonell arteriell hypertension (PAH). CS1 är en vältolererad, oral behandling med gynnsam säkerhetsprofil som i en Fas IIa-studie visat lovande effektsignaler på tillbakabildning av kärlförändringar (eng. reverse vascular remodeling) och förbättring av högerhjärtkammarfunktion hos patienter med PAH. Ett Expanded Access-program ger patienter som har slutfört Fas IIa-studien möjlighet att få tillgång till CS1. CS014, en ny kemisk substans med sjukdomsmodifierande potential, uppvisade gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil i en Fas I-studie. CS014 är en HDAC-hämmare som verkar genom en mångfaldig verkningsmekanism som en epigenetisk modulator med potential att adressera den underliggande patofysiologin hos sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar med stora behov såsom idiopatisk lungfibros (IPF). Cereno Scientific driver också ett prekliniskt program med CS585, en oral, potent och selektiv IP-receptoragonist som har visat potential att signifikant förbättra sjukdomsmekanismer relevanta för kardiovaskulära sjukdomar. Samtidigt som CS585 ännu inte tilldelats en specifik indikation för klinisk utveckling, indikerar prekliniska data att det potentiellt kan användas inom indikationer som trombosprevention utan ökad risk för blödning och pulmonell hypertension.

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, Massachusetts, USA. 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.