



Oculis tilkynnir um að Matvæla- og lyfjastofnun Bandaríkjanna (FDA) hafi veitt Privosegtor stöðu byltingarkennds meðferðarlyfs til meðhöndlunar á sjóntaugabólgu

- *Taugaverndandi þróunarlyfið Privosegtor hefur fengið stöðu byltingarkennds meðferðarlyfs (e. Breakthrough Therapy Designation) til meðhöndlunar á sjóntaugabólgu*
- *Framþróun Privosegtor heldur áfram, í PIONEER-skráningaráætluninni, sem möguleg meðferð við tvenns konar sjóntaugakvillum sem hafa mögulegt markaðstækifæri upp á 7 milljarða USD í Bandaríkjunum.*
- *Privosegtor náði að meðaltali 18 stafa aukningu í sjónskerpu við lítil birtuskil (LCVA) samanborið við eingöngu stera í æð eftir 3 mánuði í ACUITY-rannsókninni*

ZUG, Sviss, 6. janúar 2026 -- Oculis Holding AG (Nasdaq: OCS / XICE: OCS) („Oculis“), alþjóðlegt líftækniyrirtæki með áherslu á nýsköpun til að meðhöndla augnsjúkdóma og augntaugasjúkdóma og mæta verulegum óuppfylltum læknisfræðilegum þörfum, tilkynnti í dag að taugaverndandi þróunarlyf félagsins, Privosegtor, hafi fengið stöðu byltingarkennds meðferðarlyfs (e. Breakthrough Therapy Designation) frá Matvæla- og lyfjastofnun Bandaríkjanna (FDA) til meðhöndlunar á sjóntaugabólgu (e. optis neuritis, ON).

Privosegtor er lítil sameind sem er peptíðarefirlíking sem kemst yfir blóð-heila og sjónhimnuþröskulda (e. blood-brain and retinal barriers) og hefur möguleika á að verða fyrsta lyf sinnar tegundar sem taugaverndandi meðferð við sjóntaugakvillum. Þessir alvarlegu sjúkdómar hafa verulegar óuppfylltar læknisfræðilegar þarfar þar sem þeir geta leitt til varanlegs sjóntaps vegna skemmda eða dauða taugafrumna. Í dag eru engar taugaverndandi meðferðir í boði og er mögulegt markaðstækifæri meðferða við þessum sjúkdómum samanlagt um 7 milljarðar USD eingöngu í Bandaríkjunum.

Staða Privosegtor sem byltingarkennt meðferðarlyf er studd af niðurstöðum um sjónskerpu úr fasa 2 ACUITY-rannsókninnar á sjóntaugabólgu, sem er sjaldgæfur og sjónskerðandi augntaugasjúkdómur sem er oft fyrsta klíniska einkenni MS-sjúkdóms. Í rannsókninni skilaði Privosegtor verulegum bata á sjónskerpu við lítil birtuskil (e. LCVA) ásamt stöðugum líffærafræðilegum og líffræðilegum ávinningi samanborið við lyfleysu, sem styrkir möguleika þess sem taugaverndandi meðferð bæði við augntauga- og taugasjúkdómum.

Í ACUITY-rannsókninni leiddi Privosegtor til verulegs sjónbata á 2,5% ETDRS-sjónskerputöflunni við lítil birtuskil. Sjúklingar sem fengu Privosegtor 3 mg/kg/dag ásamt metýlprednisólóni í æð náðu að meðaltali 18 stafa aukningu eftir þrjú mánuði samanborið við lyfleysu ásamt metýlprednisólóni í æð. Til samanburðar tákna 15 stafa (þriggja lína) aukning um það bil tvöföldun á sjónskerpu og er talin klínískt marktæk fyrir daglega sjónvirkni. Privosegtor sýndi einnig fram á líffærafræðilegt viðhald á uppbyggingu sjónhimnu og sjóntauga, sem skemmast venjulega við bráða sjóntaugabólgu. Viðbótargreiningar sýndu minnkaða losun lífvísa fyrir hrörnun taugasíma (e. neurofilaments), sem er merki um minni skemmdir á taugasímum, sem kemur fram í sjúkdómum eins og MS. Algengustu lyfiatengdu aukaverkanir (AEs) voru höfuðverkur og bólur (hvor um sig hjá tveimur þátttakendum; 10,5%). Engar alvarlegar lyfiatengdar aukaverkanir komu upp, né heldur aukaverkanir sem leiddu til stöðvunar meðferðar eða rannsókna.

Í kjölfar árangursríks fundar með FDA árið 2025 hóf Oculis PIONEER-áætlunina. Hún felur í sér þrjár skráningarrannsóknir til að styðja við skráningaráætlanir Privosegtor við sjóntaugabólgu og NAION sem er sjaldgæfur augntaugasjúkdómur. Þessir tveir sjóntaugakvillar fela í sér mögulegt markaðstækifæri sem gæti numið rúmlega 7 milljörðum USD eingöngu í Bandaríkjunum, í ljósi verulegar óuppfylltrar læknisfræðilegrar þarfar. Fyrsta rannsóknin í áætluninni, PIONEER-1 á sjóntaugabólgu, hófst á fjórða ársfjórðungi síðasta árs. Þessi alþjóðlega rannsókn nær yfir þrjár heimsálfur og mun fara fram í að minnsta kosti sex löndum. Val á rannsóknarstöðvum stendur nú yfir og gert er ráð fyrir að innritun hefjist á næstunni.



Riad Sherif, M.D., framkvæmdastjóri Oculis, sagði: „Staða byltingarkennds meðferðarlyfs undirstrikar veruleg tækifæri Privosegtor sem fyrsta taugaverndandi meðferðar sinnar tegundar fyrir fólk með sjóntaugabólgu. Með niðurstöðum ACUITY og áframhaldandi þróun Privosegtor sem taugaverndandi meðferð fyrir helstu augntaugasjúkdóma, er Oculis í einstakri stöðu til að auka meðferðarmöguleika á sviðum þar sem úppfylltar þarfir eru verulegar. Árið 2026 stefnir í að verða viðburðaríkt ár fyrir þróunarlyf okkar.“

Mark Kupersmith, M.D., Chief Medical Advisor, Neuro-Ophthalmology, bætti við: ACUITY-rannsóknin skilaði svo sannarlega byltingarkenndum niðurstöðum, og sýndi í fyrsta skiptið í einni rannsókn fram á þróunarlyf sem bætir sjónskerpu samhliða líffærafræðilegum og líffræðilegum sönnunum um taugaverndandi ávinning. Verulegar úppfylltar læknisfræðilegar þarfir eru enn til staðar, þar sem sjúklingar með sjóntaugabólgu - oft ungar konur sem eru að upplifa fyrstu merki MS-sjúkdóms - eru enn í mikilli hættu á varanlegu sjóntapi."

-ENDIR-

Um Privosegtor

Privosegtor er lítil sameind sem er peptíðarefirlíking sem kemst yfir blóð-heila og sjónhimnuþröskuld. Privosegtor hefur möguleika á að verða fyrsta taugaverndandi meðferðin við sjóntaugabólgu (ON) og öðrum tauga- og augnsjúkdómum. Jákvæðar niðurstöður úr fasa 2 ACUITY-rannsókninni sýndu fram á mögulegan taugaverndandi ávinning af notkun Privosegtor með líffærafræðilegu viðhaldi sjónhimnu og sjónbótum eftir bráð tilvik sjóntaugabólgu. Samhliða niðurstöður komu fram í dýralíkönum fyrir taugabólgu og taugahrörnun þar sem Privosegtor sýndi jákvæð merki um fyrirbyggjandi skemmdir á taugahnoðfrumum (e. ganglion cells) í sjónhimnu og var tengt við bætta hreyfigetu (e. clinical disfunction disability). Privosegtor hefur verið skilgreint sem byltingarkennt meðferðarlyf af bandaríska matvæla- og lyfjaeftirlitinu (FDA) og verið skilgreint sem lyf sem þróað er til þess að meðhöndla sjaldgæfa sjúkdóma (e. orphan drug) af bæði bandaríska matvæla- og lyfjaeftirlitinu og lyfjastofnun Evrópu (EMA) fyrir sjóntaugabólgu og er nú að hefja skráningarrannsóknir fyrir þessa ábendingu, sem og skráningarrannsókn fyrir blóðþurrð í sjóntaug án slagæðabólgu (NAION) sem hluti af PIONEER (Privosegtor Investigation in Optic Neuropathies Efficacy Evaluation Research)-áætlun Oculis. Til viðbótar við sjónverndandi meðferð gæti Privosegtor haft viðtækari notkunarmöguleika þegar kemur að öðrum tauga- og augnsjúkdómum.

Tekið skal fram að Privosegtor er rannsóknarlyf og hefur ekki hlotið samþykki eftirlitsstofnana til almennrar notkunar í neinu landi.

Um sjóntaugabólgu (e. Optic Neuritis)

Sjóntaugabólga er sjaldgæfur sjúkdómur sem lýsir sér í bráðri bólgu í sjóntaug sem getur leitt til varanlegrar sjónskerðingar. Sjúkdómurinn hefur áhrif á allt að 8 af hverjum 100.000 manns um allan heim (talið er að nýgengi í Bandaríkjunum sé >30.000) og er oft fyrsta merki um MS-sjúkdóminn¹. Sjóntaugabólga kemur aðallega fram hjá fullorðnu fólki á aldrinum 20 til 40 ára og er algengari hjá konum (2:1)². Hið bráða bólguferli sjóntaugabólgu leiðir til taps á mýli (e. myelin) sem umlykur sjóntaugina og taugasíma (e. axons). Í upphafi þjást sjúklingar oft af sjónskerðingu og augnverkjum sem aukast með augnhreyfingum. Þegar bólgan hefur hjaðnað verður oft endurnýjun á mýlinu, en endurnýjunin er ófullnægjandi. Án mýlisslíðursins sem umlykur taugasíma og verndar þá verða taugafrumur og taugungar sem eru staðsettar á ómýldum hlutum taugasímanna viðkvæmar og útsettar fyrir því að deyja. Skemmdir taugasímar geta ekki vaxið aftur, sem leiðir til varanlegrar sjónskerðingar. Þótt flestir sjúklingar verði ekki fyrir varanlegu og alvarlegu sjóntapi er sjónskerðing fyrir myndum og hlutum með litla skerpu algeng kvilli. Þetta getur truflað lestur, mynsturgreiningu og sjón á gráum eða skýjuðum dögum. Í dag er engin sérhönnuð taugaverndandi meðferð samþykkt til meðhöndlunar á sjóntaugabólgu og mikil þörf er á meðferð sem getur komið í veg fyrir sjóntap af völdum sjúkdómsins.

Um NAION (blóðþurrð í sjóntaug án slagæðabólgu)

NAION er bráður sjóntaugasjúkdómur sem veldur varanlegri sjónskerðingu hjá um >60% sjúklinga sem þjást af sjúkdómnum³. Hann er algengasta orsök bráðra skemmda á sjóntaug hjá einstaklingum eldri en 50 ára⁴. Sjúkdómurinn hefur áhrif á allt að 10,2 af hverjum 100.000 manns um allan heim⁵ og er tíðni í Bandaríkjunum talin vera >30,000^{4,6,7}. NAION og bráð sjóntaugabólga valda skaða á sjóntaug sem



leiðir til versnandi taps á taugapráðum og sjónskerðingar eftir bráðatilvikið. Sjúkdómurinn lýsir sér þannig að sjóntaugadoppan bólgnar og sjúklingurinn finnur fyrir skyndilegu, sársaukalaus sjóntapi. Bólgnan hjaðnar að lokum, en sjóntaugasímar og taugafrumur (í sjónhimnunni) tapast varanlega, sem leiðir til verulegrar sjónskerðingar eða jafnvel varanlegrar blindu⁹. Engar viðurkenndar meðferðir eru við NAION og enn er óuppfyllt þörf fyrir meðferð til að varðveita sjón og veita taugavörn fyrir sjúklinga sem þjást af NAION.

Um ACUITY-rannsóknina sem styður stöðu byltingarkennds meðferðarlyfs⁹

Fasa 2 ACUITY (Acute OptiC NeURITis of DemYelinating Origin) rannsóknin var slembiröðuð, tvíblind, lyfleysusamanburðarrannsókn á mörgum rannsóknarstöðvum, sem var hönnuð til að meta gjöf Privosegtors í æð einu sinni á dag í fimm daga samanborið við lyfleysu hjá sjúklingum með sjóntaugabólgu sem fengu stera. Auk öryggis voru önnur valin viðmið mæld til að meta taugaverndandi möguleika Privosegtor og bætta sjónvirkni hjá sjúklingum með sjóntaugabólgu. Í rannsókninni var 36 hæfum sjúklingum á aldrinum 18 til 60 ára slembiraðað, með nýlega byrjaða (einkenni sjónskerðingar) sjóntaugabólgu í öðru auga af afmýelínerandi uppruna, þar af fengu 33 sjúklingar Privosegtor 2 mg eða 3 mg/kg/dag ásamt metýlprednisólóni í æð, eða lyfleysu ásamt metýlprednisólóni í æð í fimm daga.

Um stöðu byltingarkennds meðferðarlyfs

Staða byltingarkennds meðferðarlyfs er ætluð til að flýta fyrir yfirferð FDA á lyfjum við alvarlegum eða lífshættulegum sjúkdómum. Skilyrði þessarar stöðu er að klínískar rannsóknir sýni fram á að lyfið gæti falið í sér umtalsvarðar framfarir á að minnsta kosti einum klínískt mikilvægum mælikvarða samanborið við tiltæka meðferð. Aðferðir til að sýna fram á umtalsverðar framfarir eru meðal annars eftirfarandi:

- Beinn samanburður á nýja lyfinu við tiltæka meðferð sýnir mun meiri eða mikilvægari svörun
- Ef engin meðferð er tiltæk sýnir nýja lyfið veruleg og klínísk marktæk áhrif á mikilvæga niðurstöðu í samanburði við lyfleysi eða vel skjalfest söguleg viðmið
- Nýja lyfið, sem er bætt við tiltæka meðferð, leiðir til mun meiri eða mikilvægari svörunar samanborið við tiltæka meðferð í samanburðarrannsókn eða við vel skjalfesta sögulega viðmiðun.
- Nýja lyfið hefur veruleg og klínískt marktæk áhrif á undirliggjandi orsök sjúkdómsins, öfugt við tiltækar meðferðir sem meðhöndla aðeins einkenni sjúkdómsins, og bráðabirgðagögn úr klínískum rannsóknum benda til þess að lyfið sé líklegt til að hafa sjúkdómsbreytandi áhrif til lengri tíma litið (t.d. viðvarandi klínískur ávinningur samanborið við tímabundinn klínískan ávinning sem tiltækar meðferðir veita).
- Nýja lyfið snýr við eða hamlar framgangi sjúkdóms, öfugt við tiltækar meðferðir sem veita aðeins einkenameðferð.
- Nýja lyfið hefur mikilvægan öryggisávinning sem tengist alvarlegum aukaverkunum (t.d. þeim sem geta leitt til meðferðarhlés) samanborið við tiltækar meðferðir og hefur svipaða virkni.

Staða sem byltingarkennd meðferð felur í sér ítarlegri leiðbeiningar frá FDA um skilvirka lyfjaþróunaráætlun, skipulagslega skuldbindingu sem nær til yfirstjórnenda og hæfi til áfangamats og forgangsmats. FDA mun fara yfir öll gögn sem lögð eru fram til stuðnings samþykki lyfja sem flokkuð eru sem byltingarkenndar meðferðir til að ákvarða hvort lyfin séu örugg og virk fyrir fyrirhugaða notkun áður en þau eru samþykkt til markaðssetningar.

Um Oculis

Oculis er alþjóðlegt líftækni fyrirtæki (Nasdaq: OCS; XICE: OCS) með áherslu á nýsköpun við meðferð á augntaugasjúkdómum í því skyni að mæta verulegum óuppfylltum lækisfræðilegum þörfum. Í klínískri þróun hjá Oculis eru þrjú lykilþróunarlyf: Privosegtor, taugaverndandi þróunarlyf í PIONEER-áætluninni sem samanstendur af rannsóknum sem er ætlað að styðja við skráningaráætlanir meðferðar við sjóntaugakvillum á borð við sjóntaugabólgu og NAION, en lyfið kann einnig að hafa viðtæka notkunarmöguleika við ýmsum öðrum augntauga- og taugasjúkdómum; OCS-01, augndropar í skráningarrannsóknum sem ætlunin er að verði fyrsta augndropameðferðin við sjónhimnubjúg af



völdum sykursýki; og Licaminlimab, augndropar í fasa 2 rannsóknum sem innihalda TNF-hamlara og byggjast á notkun erfðamerkis til að þróa einstaklingsmiðaða lyfjameðferð við augnþurrki (DED). Höfuðstöðvar Oculis eru í Sviss og félagið er með starfsstöðvar í Bandaríkjunum og á Íslandi. Stjórnendur Oculis hafa mikla reynslu á sviði lyfjaiðnaðar og hafa náð miklum árangri hver á sínu sviði. Þá standa leiðandi alþjóðlegir fjárfestingarsjóðir á sviði heilbrigðisvísinda að baki félaginu.

Frekari upplýsingar er að finna á: www.oculis.com

Tengiliðir hjá Oculis

Sylvia Cheung, fjármálastjóri
sylvia.cheung@oculis.com

Fjárfestatengs

LifeSci Advisors
Corey Davis, Ph.D.
cdavis@lifesciadvisors.com

Fjölmíðlatengs

IICR Healthcare
Amber Fennell / David Daley / Sean Leous
oculis@icrhealthcare.com

Fyrirvarar

Þessi fréttatilkynning er þýðing á enskri útgáfu tilkynningarinnar. Ef misræmi kemur fram gildir orðalag ensku útgáfunnar. Fréttatilkynningin inniheldur staðhæfingar um atburði í framtíðinni (e. forward-looking statements) eins og hugtakið er skilgreint í bandarísku löggjöfnni Private Securities Litigation Reform Act of 1995, sbr. það sem fram kemur í eftirfarandi fyrirvörum á ensku.

Cautionary Statement Regarding Forward Looking Statements

This press release contains forward-looking statements and information. For example, statements regarding the potential benefits of the Company's product candidates, the initiation, timing, progress and results of current and future clinical trials, Oculis' research and development programs, regulatory and business strategy, including planned interactions with the FDA and potential benefits of breakthrough therapy designation; Oculis' future development plans; the timing or likelihood of regulatory filings and approvals; statements about market opportunity, and the Company's expected financial position and cash runway, are forward-looking. All forward-looking statements are based on estimates and assumptions that, while considered reasonable by Oculis and its management, are inherently uncertain and are inherently subject to risks, variability, and contingencies, many of which are beyond Oculis' control. These forward-looking statements are provided for illustrative purposes only and are not intended to serve as, and must not be relied on by an investor as, a guarantee, assurance, prediction or definitive statement of a fact or probability. Actual events and circumstances are difficult or impossible to predict and will differ from assumptions. All forward-looking statements are subject to risks, uncertainties and other factors that may cause actual results to differ materially from those that we expected and/or those expressed or implied by such forward-looking statements. Forward-looking statements are subject to numerous conditions, many of which are beyond the control of Oculis, including those set forth in the Risk Factors section of Oculis' annual report on Form 20-F and any other documents filed with the U.S. Securities and Exchange Commission (SEC). Copies of these documents are available on the SEC's website, www.sec.gov. Oculis undertakes no obligation to update these statements for revisions or changes after the date of this release, except as required by law.

Heimildir:

1. Martínez-Lapiscina EH, et al. (2014): Is the incidence of optic neuritis rising? Evidence from an epidemiological study in Barcelona (Spain) 2008-2012. J Neurol. 2014 Apr; 261(4): 759-767.

Oculis

2. Pérez-Cambrodí RJ, Gómez-Hurtado Cubillana A, Merino-Suárez ML, Piñero-Llorens DP, Laria-Ochaita C. Optic neuritis in pediatric population: a review in current tendencies of diagnosis and management. J Optom. 2014 Jul-Sep;7(3):125-30.
3. Sing Hayreh S. (2008): Nonarteritic anterior ischemic optic neuropathy: natural history of visual outcome. Ophthalmology. 2008 Feb;115(2):298-305.
4. <https://www.aao.org/eyenet/article/naion-diagnosis-and-management>
5. Kupersmith, MJ et al. (2024): Ophthalmic and Systemic Factors of Acute Nonarteritic Anterior Ischemic Optic Neuropathy in the Quark207 Treatment Trial. 2024 July;131(7):790-802.
6. Hattenhauer M G et al. (1997): Incidence of nonarteritic anterior ischemic optic neuropathy. American Journal of Ophthalmology. 1997 Jan;123(1):103-7.
7. Lee M S et al. (2011): Incidence of nonarteritic anterior ischemic optic neuropathy: increased risk among diabetic patients. Ophthalmology 2011 Mar 24;118(5):959-963
8. North American Neuro-Ophthalmology Society website: <https://www.nanosweb.org>
9. U.S. Food and Drug Administration. "Guidance for Industry: Expedited Programs for Serious Conditions - Drugs and Biologics, 2014". Available at <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/expedited-programs-serious-conditions-drugs-and-biologics>