



Banbrytande behandlingar för att förbättra och förlänga livet för människor med sällsynta kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar

Sten R. Sörensen, vd

ABGSC Investor Days, 13 maj 2025

Cereno Scientific

Disclaimer

This presentation has been prepared and produced by Cereno Scientific AB (publ) (“Cereno Scientific”) solely for Cereno Scientific’s investor presentation and may not be used for any other purpose. Unless otherwise stated, Cereno Scientific is the source for all data in this presentation. Such data is provided as of this presentation’s date and is subject to change without notice.

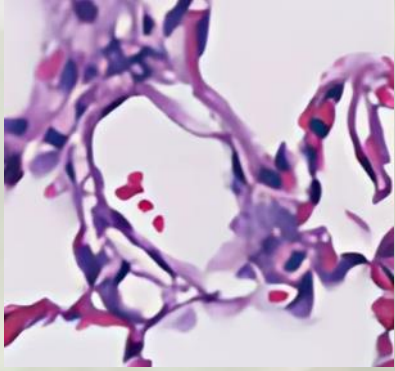
This presentation includes forward-looking statements. These forward-looking statements involve known and unknown risks, uncertainties, and other factors, which may cause Cereno Scientific’s actual results, performance, achievements, or industry results to be materially different from those expressed or implied by these forward-looking statements. Forward-looking statements speak only as of the date of this presentation and Cereno Scientific expressly disclaims any obligation or undertaking to release any update of, or revisions to, any forward-looking statement in this presentation, as a result of any change in Cereno Scientific’s expectations or any change in events, conditions or circumstances on which these forward-looking statements are based.

This presentation does not constitute or form part of, and should not be construed as, an offer or invitation for the sale of or the subscription of, or a solicitation of any offer to buy or subscribe for, any securities, nor shall it or any part of it or the fact of its distribution form, or be relied on in connection with, any offer, contract, commitment or investment decision relating thereto, nor does it constitute a recommendation regarding the securities of Cereno Scientific.

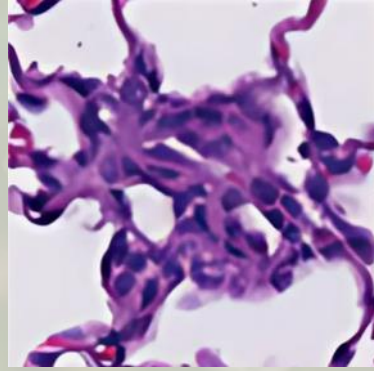
The information in this presentation has not been independently verified.

No regulatory body in Sweden or elsewhere has examined, approved, or registered this presentation.

Frisk
lungartär



Försmalnad artär vid PAH
(plexiforma lesioner)



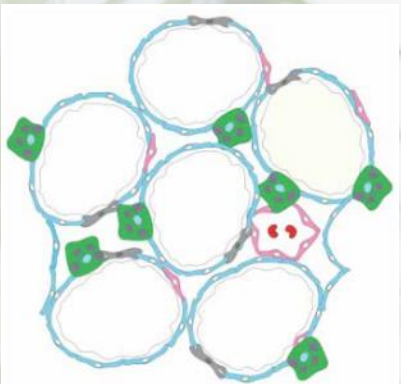
PAH
sjukdoms-
förlopp

Tvärsnitt av lungartär



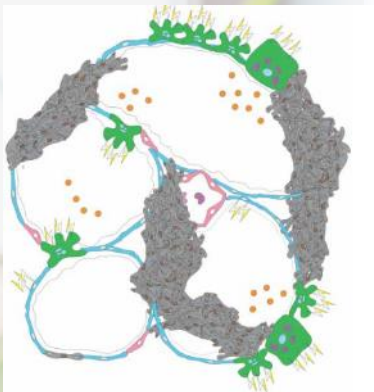
Tänk om...

Friska små lungblåsor
(alveolerna)



Fibros och förträngning
av lungblåsor vid IPF

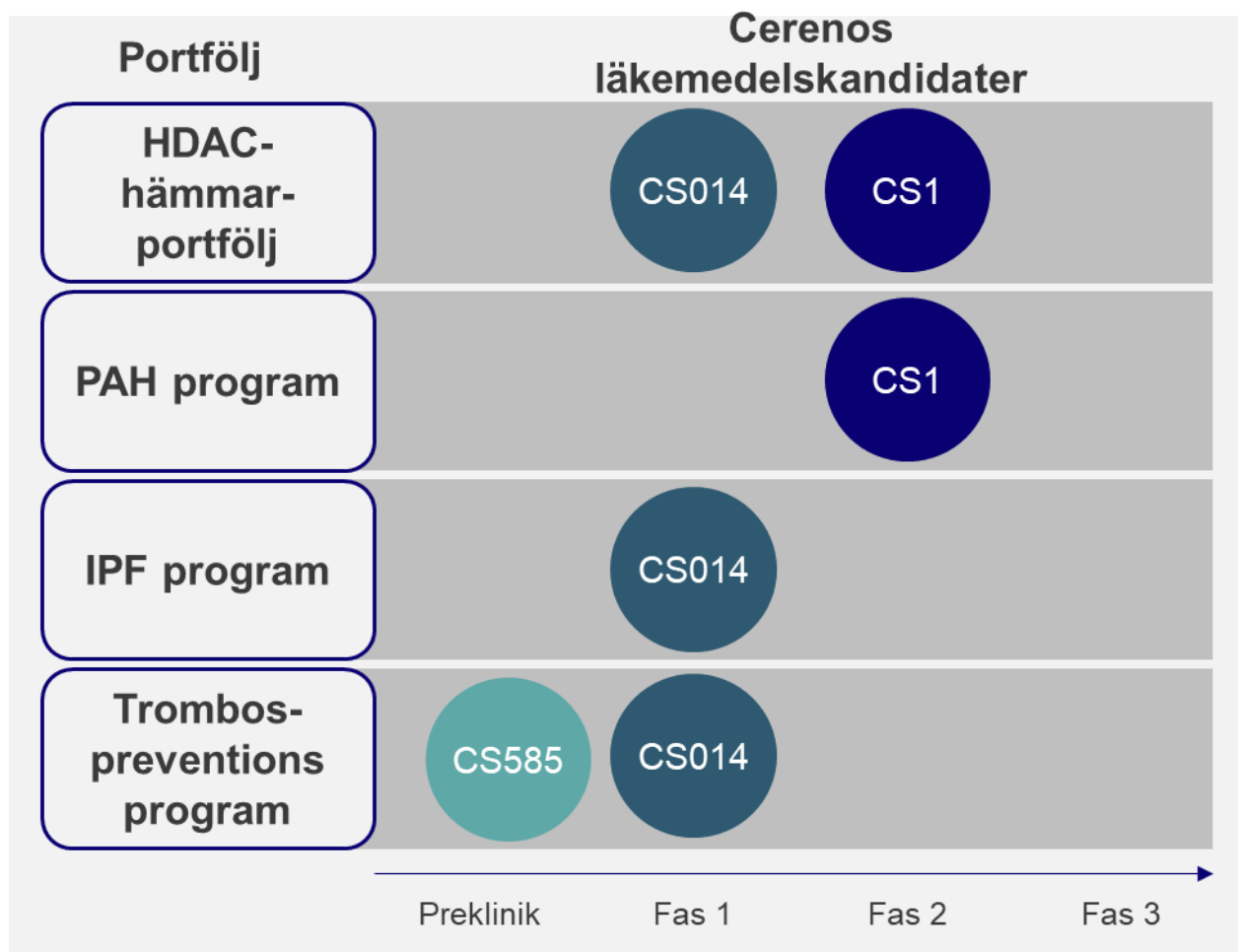
IPF sjukdoms-
utveckling



Tvärsnitt av små lungblåsorna

Tänk om...

Cereno vill förändra behandlingar av sällsynta sjukdomar med banbrytande epigenetiskt modulerande HDAC-hämmare



Huvudsakliga egenskaper
i HDAC-hämmarportföljen



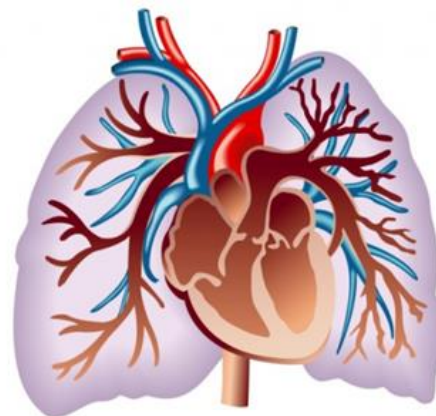
Gynnsam säkerhetsprofil

Väl tolererad

Sjukdomsmodifierande

Pulmonell arteriell hypertension (PAH) är en dödlig sjukdom utan spontan förbättring

- Progressiv förträngning och patologisk ombyggnad av lungkärnen leder i slutändan till högersidig hjärtsvikt och död
- Genomsnittlig överlevnad är 2,5 år utan behandling och 7,5 år med nuvarande standardbehandling
- Nuvarande standardbehandlingar adresserar inte de bakomliggande sjukdomsmekanismerna
- Det finns inget botemedel mot PAH, förutom lungtransplantation



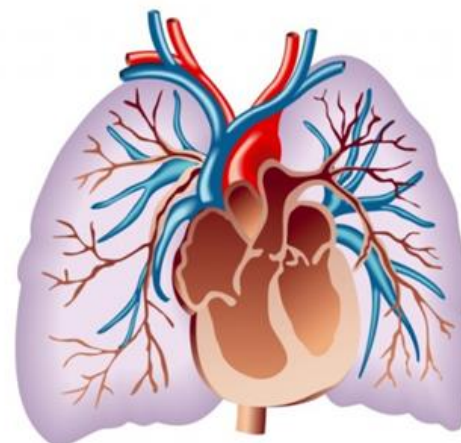
PAH sjukdomsutveckling

Friskt hjärta och lungor

Patologiska
kärlförändringar

Pulmonell arteriell
hypertension

Högersidig
hjärtsvikt



A woman with curly brown hair is smiling and looking slightly upwards. She is wearing a light blue t-shirt. The background is a soft-focus green bokeh, suggesting foliage. A dark blue diagonal overlay covers the bottom right portion of the image.

Tänk om...

CS1

- Patentskyddad reformulering av VPA
- Klinisk "proof-of-concept" av HDAC-hämmare i PAH



Cereno Scientific

HDAC enzymer är genom epigenetiska förändringar kopplade till sjukdomsmekanismerna i PAH och dess progression

HDAC Klass I (histon 1, 2, 3 & 8) är av hög relevans i sjukdomsmekanismerna i PAH

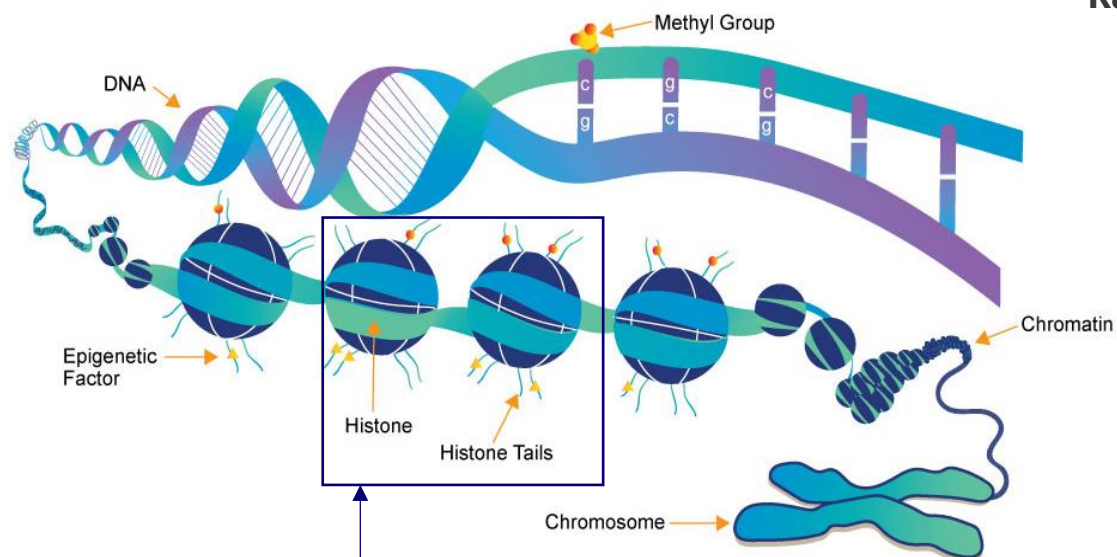
Sjukdomsmekanismer vid PAH

- Patologisk kärlombyggnad
- Endoteldysfunktion
- Plexiforma lesioner
- Inflammation
- Fibros
- Vasokonstriktion
- Hypertrofi av höger kammare (RV)

Patologisk ombyggnad av lungkärnen



Cerenos HDAC-hämmarportfölj frigör potentialen av epigenetisk modulering i kardiovaskulära sjukdomar och lungsjukdomar



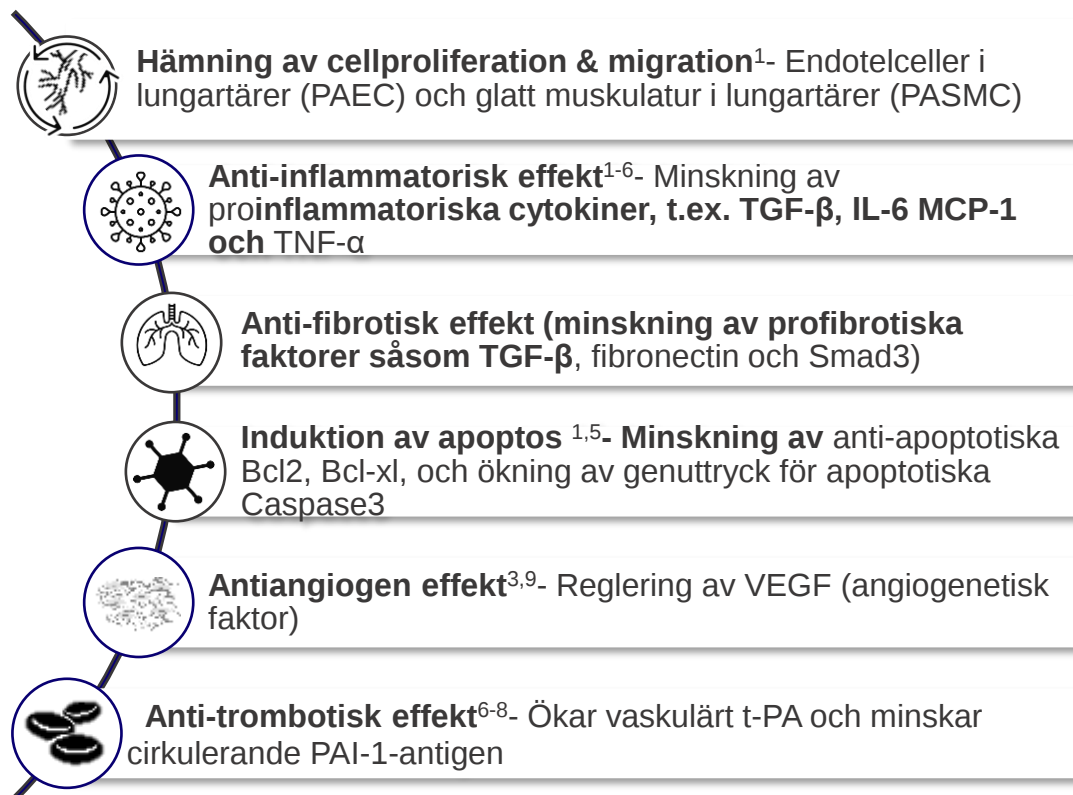
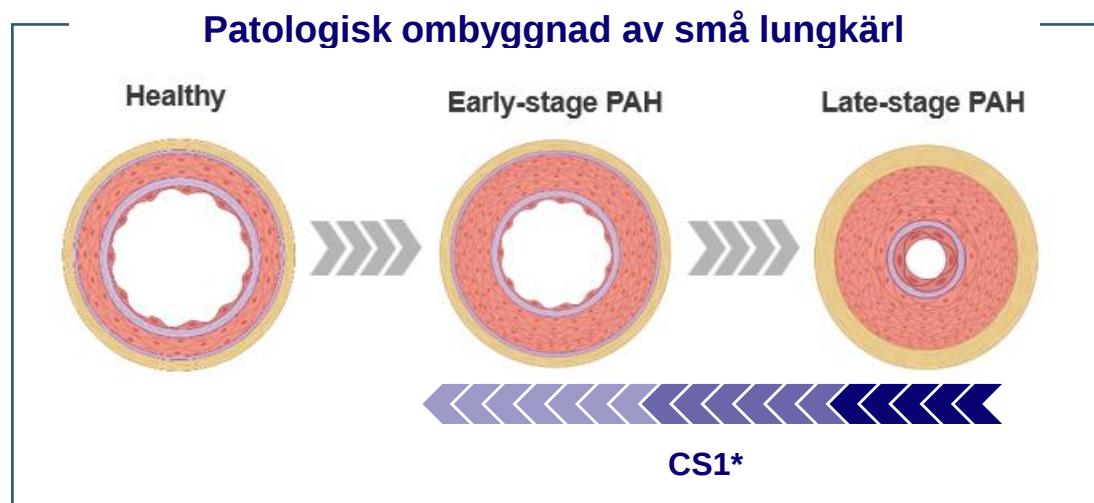
Histonmodifiering
genom acetylering

THE LANCET
Healthy Longevity
Histone deacetylase inhibitors for cardiovascular conditions
and healthy longevity
Association of Cardiovascular Biomarkers, Biomarkers, Prevention, and Lifestyle

Sjukdomsmodifierande egenskaper vid kardiovaskulära och lungsjukdomar som associeras med HDAC-hämning:

- 1 Tillbakabildning av patologiska kärlförändringar
- 2 Anti-fibrotisk
- 3 Anti-inflammatorisk
- 4 Trycksänkning i lungartärer
- 5 Anti-trombotisk effekt (fibrinolytisk, anti-platelet)

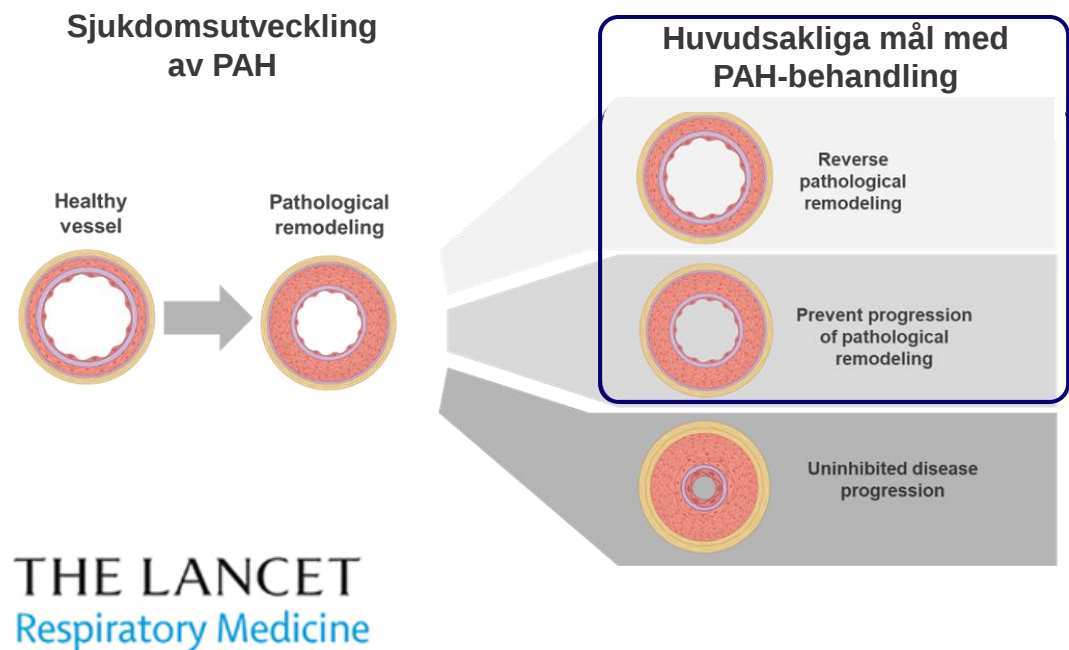
Prekliniska data i PAH: CS1* har dokumenterat ett flertal egenskaper av relevans för tillbakabildning av kärlförändringar



*Aktiv substans valproinsyra (VPA)

1 – I PAH-modeller, 2 – I lungfibrosmodeller, 3 – I peritoneal fibrosmodeller, 4 – I hypertoni-modeller, 5 – I modeller för lungskada, 6 – Hos män med åderförkalkning, 7 – I modeller för tromboemboliska tillstånd, 8 – Hos friska män, 9 – I modeller för ärrbildning i bindhinnan

Mål med PAH-behandling: Sjukdomsmodifiering, förebygga progressivt förlopp och/eller tillbakabilda sjukliga lungkärlsförändringar



Mått som används	Klinisk studie endpoint
Förbättra symtom börda	Quality of life (QoL)
Förbättra funktionskapacitet	NYHA/WHO funktionsklass
Sakta ned sjukdomsförloppet	REVEAL 2.0 risk score; NYHA/WHO funktionsklass; Högerkammarmfunktion
Färre sjukhusinläggningar	Sjukhusinläggningar
Förlänga överlevnad	REVEAL 2.0 risk score; Högerkammarmfunktion

Future treatment paradigms in pulmonary arterial hypertension: a personal view from physicians, health authorities, and patients



Franck F Rahaghi, Marc Humbert, Marius M Hoepfer, R James White, Robert P Frantz, Paul M Hassoun, Anna R Hemnes, Steven M Kawut, Valerie V McLaughlin, Gergely Meszaros, Peter G M Mol, Steven D Nathan, Mitchell A Psotka, Farbod N Rahaghi, Olivier Sitbon, Norman Stockbridge, Jason Weatherall, Faiez Zannad, Sandeep Sahay

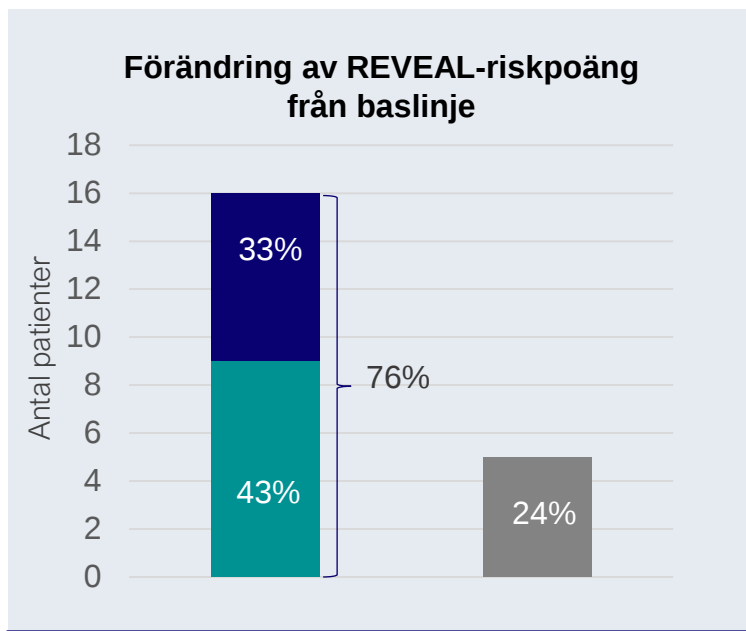
Fas IIa-studie med CS1 i PAH: Identifierade effektsignaler

- Primär endpoint av säkerhet och tolerabilitet, utan påvisade CS1 relaterade allvarliga biverkningar.
- Signaler som indikerar tillbakabildning av sjukliga kärlförändringar i lunga:
 - **Tecken på förbättrad funktion i höger hjärtkammare** (mest betydande förutsäggande faktor för dödlighet i PAH) – Förbättring av Global Longitudinell Deformation (*eng.* Global Longitudinal Strain) i höger hjärtkammare (RV GLS) och minskad trikuspidalregurgitation (TR)
 - **Tecken på förbättrad övergripande hjärtfunktion** – Förbättrad NYHA funktionsklass och livskvalitet (QoL)
 - **Tecken på sjukdomsmodifikation och prognos** – Förbättrad REVEAL 2.0-riskpoäng

CS1 – Minskad REVEAL 2.0-riskpoäng, NYHA funktionsklass och mPAP (AUC) indikerar bättre patientutfall

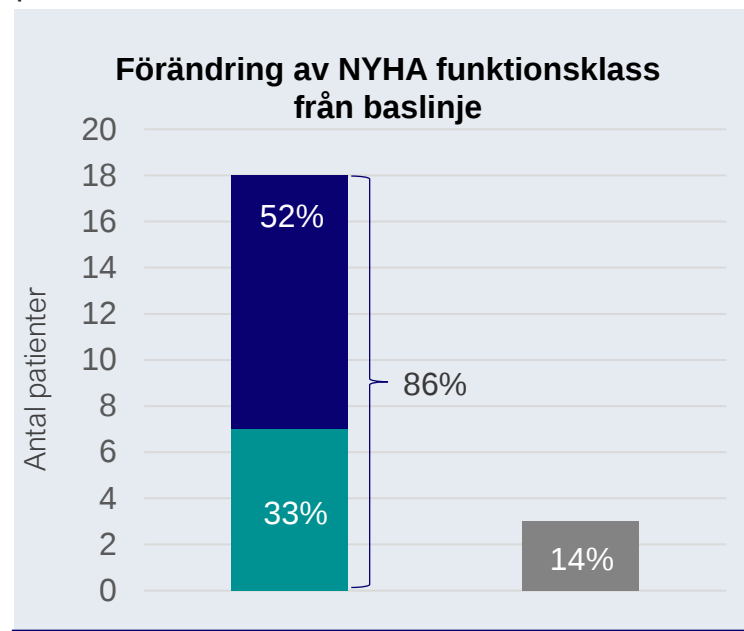
43% av patienterna minskade REVEAL 2.0-riskpoäng:

En minskning med 1 poäng i riskpoäng inom 12 veckor är kopplad till en 23% lägre relativ risk för död inom 12 månader¹.



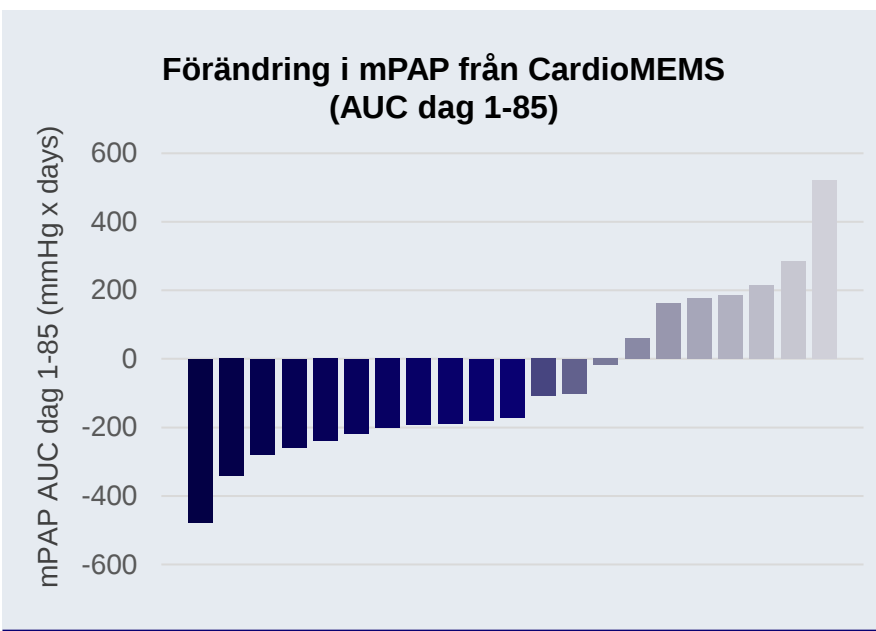
Funktionsklass: 86% förbättrade eller behöll stabil funktionsklass (FC):

- Förbättrad FC är kopplad till ökad överlevnad^{2,3}
- Två patienter uppnådde funktionsklass I; inga patienter försämrades till funktionsklass IV



Bestående minskning av mPAP AUC hos 67 % av patienterna:

En liten förändring i ePAD med 3, 4 eller 5 mmHg från baslinje till 6 månader är associerad med minskad dödlighetsrisk.⁴



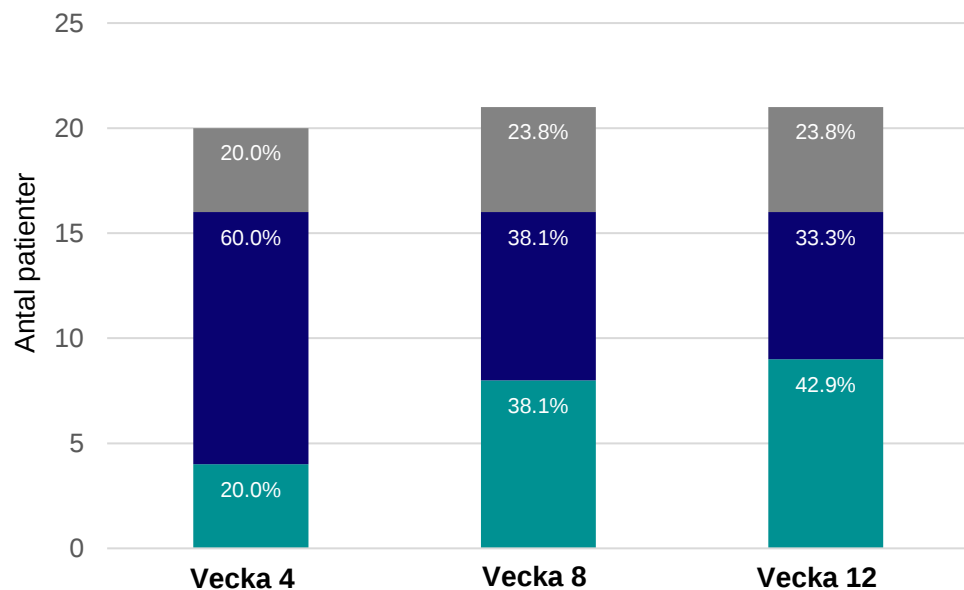
■ Förbättring ■ Stabil ■ Försämring

Analys av Per protocol (PP)-populationen. För REVEAL-riskpoängen uppdaterades värdena enligt provarnas rapportering. Förbättring: Minst 1 poängs minskning i REVEAL-riskpoäng. Försämring: Minst 1 poängs ökning i riskpoäng.

Procentalen är avrundade; därför summerar inte alltid de enskilda siffrorna till exakt 100%.

CS1 – Ökande antal patienter förbättrades över tid enligt REVEAL 2.0-riskpoäng och NYHA funktionsklass, indikerar påverkan på sjukdomsförlopp

Det totala antalet patienter med en minskning på minst 1 poäng i **REVEAL-riskpoäng** ökade över tid från baslinjen till vecka 12.



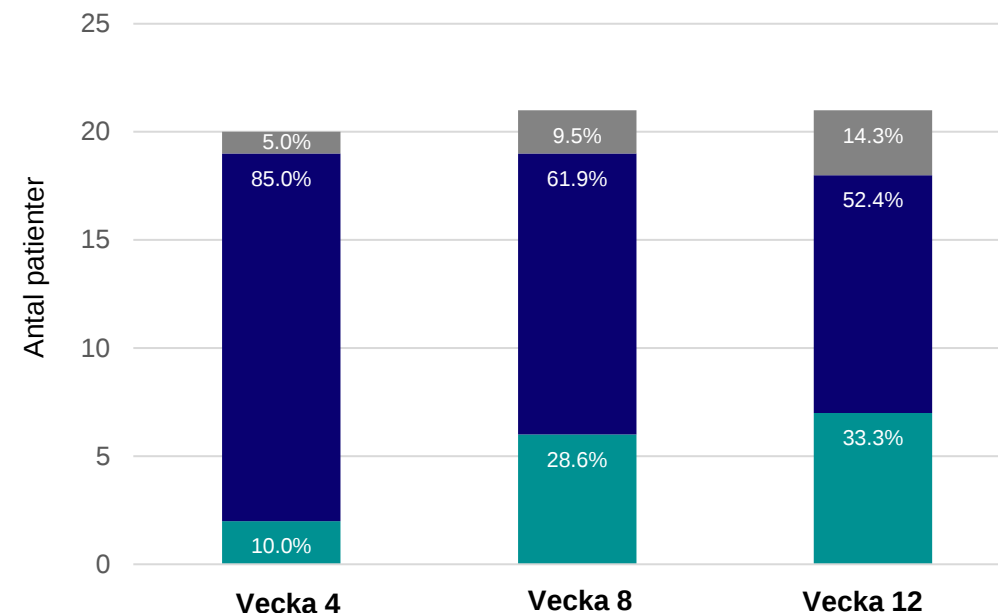
REVEAL poäng förbättras
oberoende av funktionsklass

Förbättring

Stabil

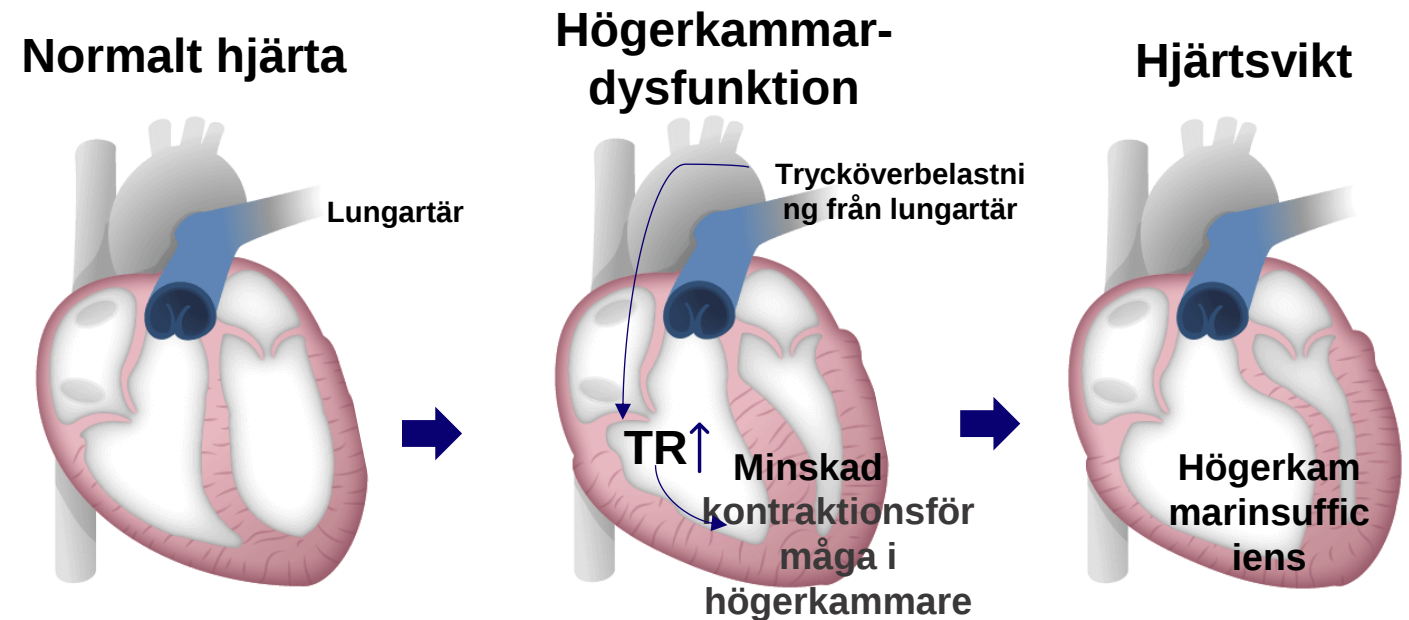
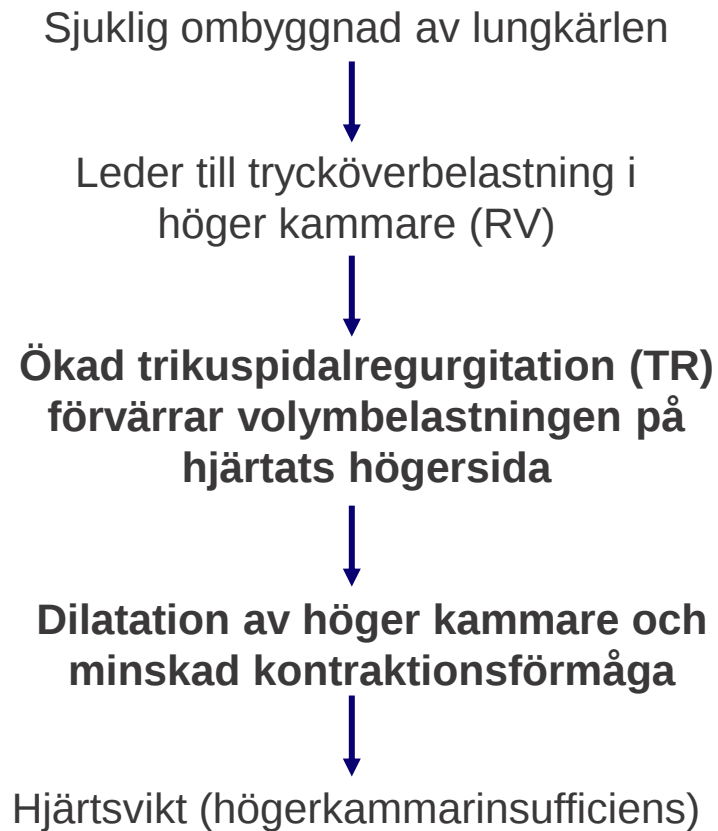
Försämring

Det totala antalet patienter med förbättrad **NYHA-funktionsklass (FC)** ökade över tid från baslinjen till vecka 12.



Procentalen är avrundade; därför summerar inte alltid de enskilda siffrorna till exakt 100%.

PAH leder till höger hjärtkammare (RV) dysfunktion pga trycköverbelastning, vilket slutligen resulterar i hjärtsvikt – ett dödligt utfall för patienterna



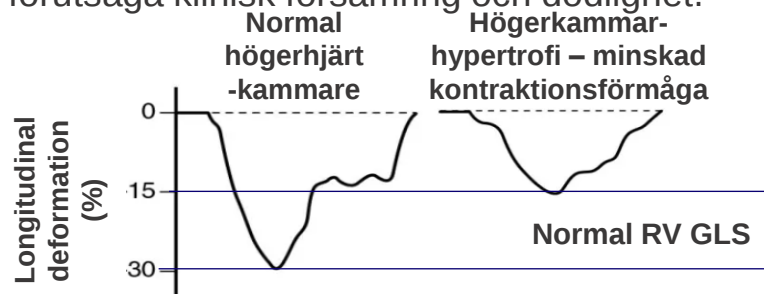
Tillbakabildning av sjukliga hjärtmuskelförändringar i höger hjärtkammare förbättrar patientfunktion och prognos

Huvudparametrar för mätning av höger hjärtkammarfunktion

Global Longitudinell Deformation i höger hjärtkammare (RVGLS) – en 5 % förbättring i GLS är kopplad till sju gånger lägre dödlighet inom fyra år.

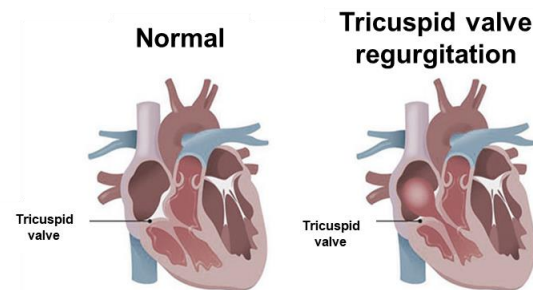
GLS är en mycket känslig indikator för att:

1. identifiera subklinisk högerkammardysfunktion i tidiga stadier av PAH,
2. indikera behandlingsrelaterade förbättringar, samt
3. förutsäga klinisk försämring och dödlighet.



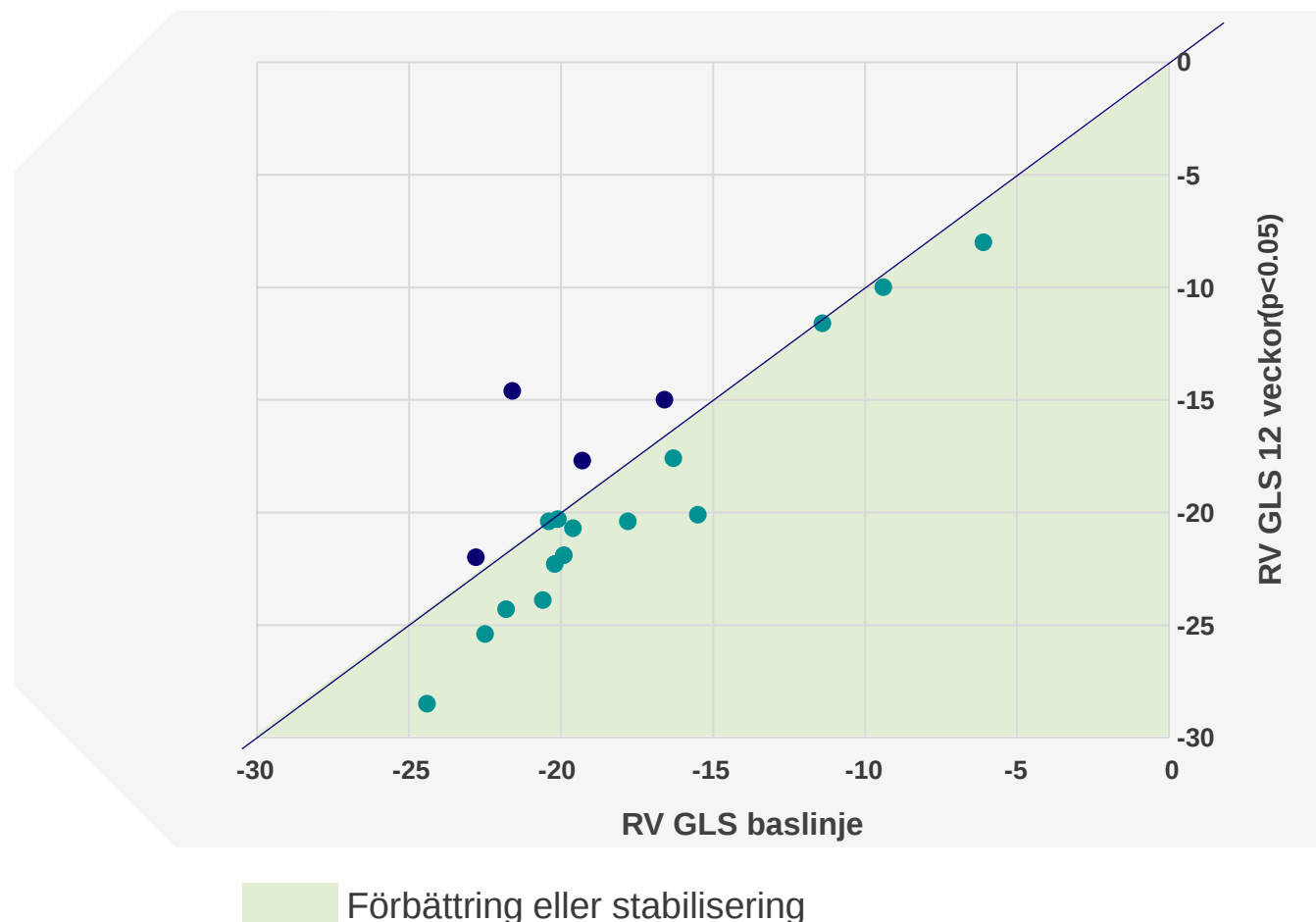
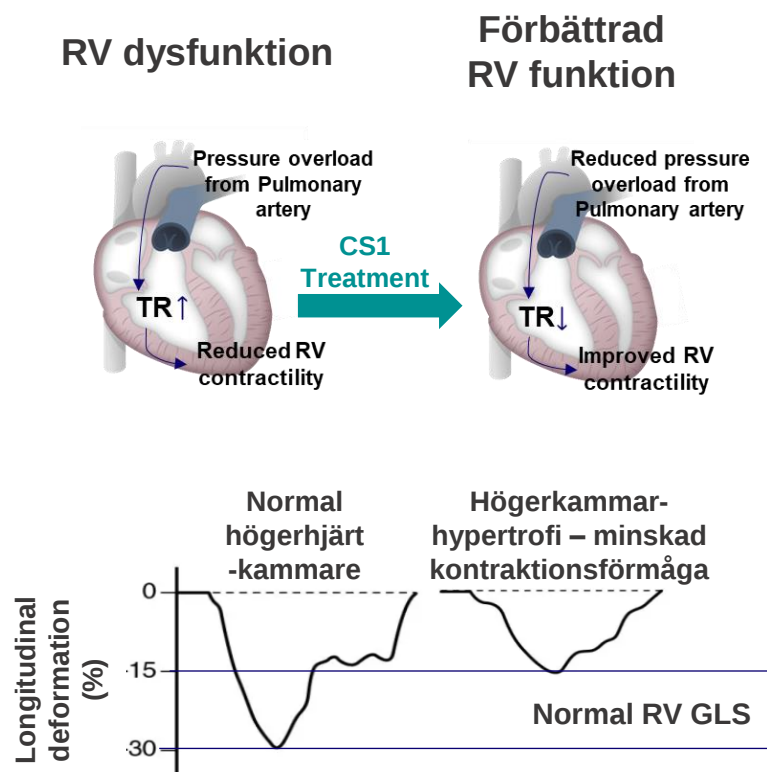
Minskning av trikuspidalregurgitation (TR) – nära kopplad till sjukdomens svårighetsgrad och prognos, inklusive dödlighet.

- Vanlig och kliniskt betydelsefull komplikation vid PAH som speglar högerkammardysfunktion.
- Ökad trikuspidalregurgitation är starkt kopplad till dålig prognos hos PAH-patienter.
- Minskning av TR återspeglar positiv effekt av behandlingar.

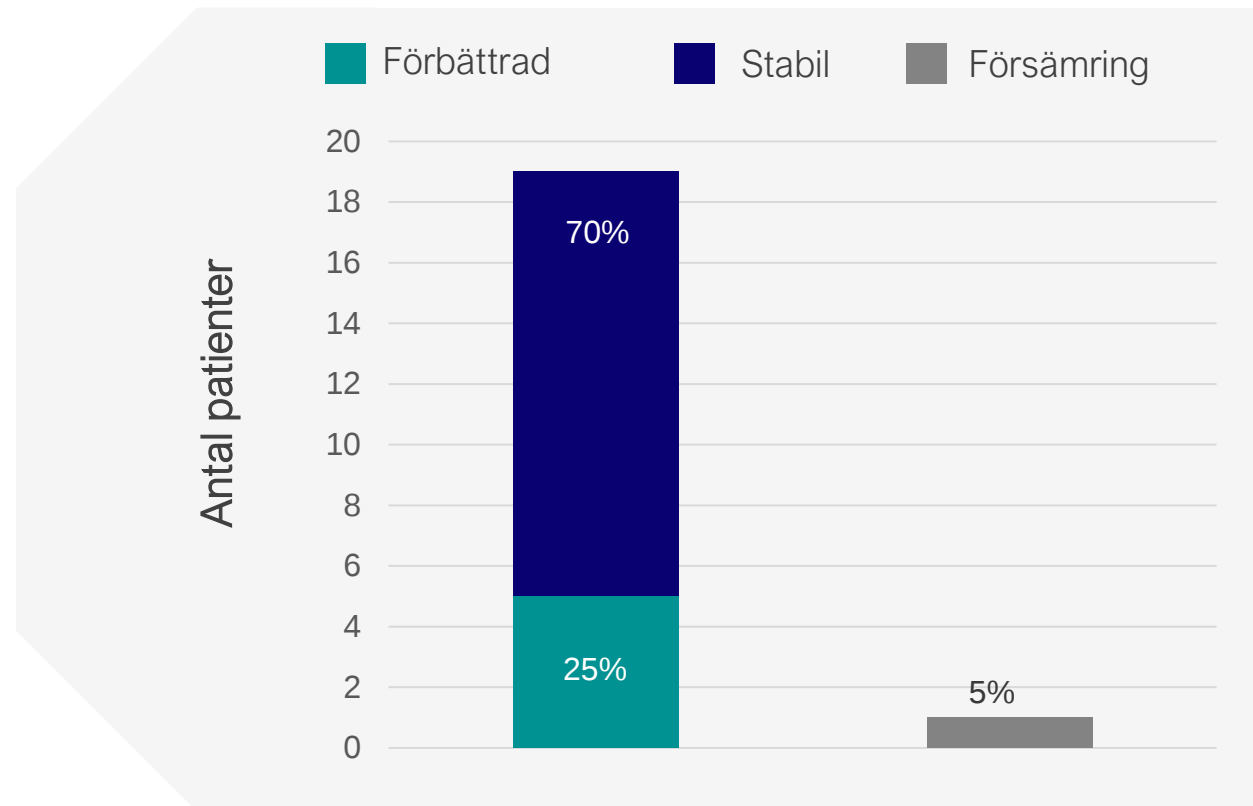
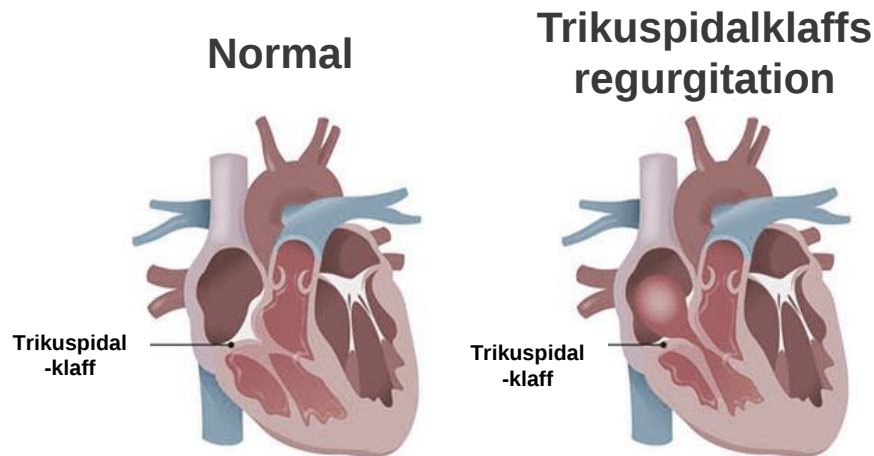


CS1 – Förbättrad Global Longitudinell Deformation i höger hjärtkammare (RV GLS) från baslinje indikerar bättre RV funktion

RV = höger hjärtkammare

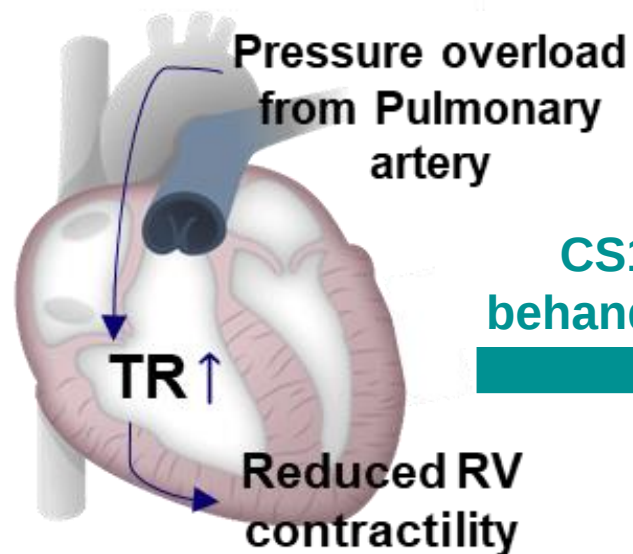


CS1 – Reducerad trikuspidalregurgitation från baslinje indikerar positiv påverkan på höger hjärtkammarfunktion



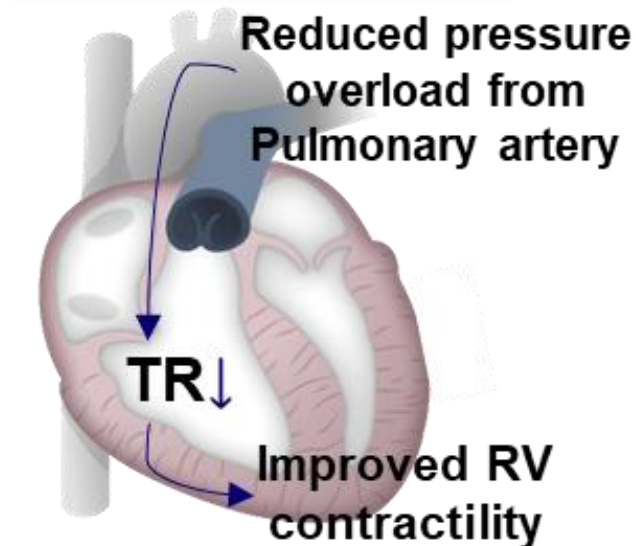
CS1 – Förbättrad högerkammarfunktion som indikeras av förbättrad RV GLS och reducerad TR

Dysfunktion i höger
hjärtkammare

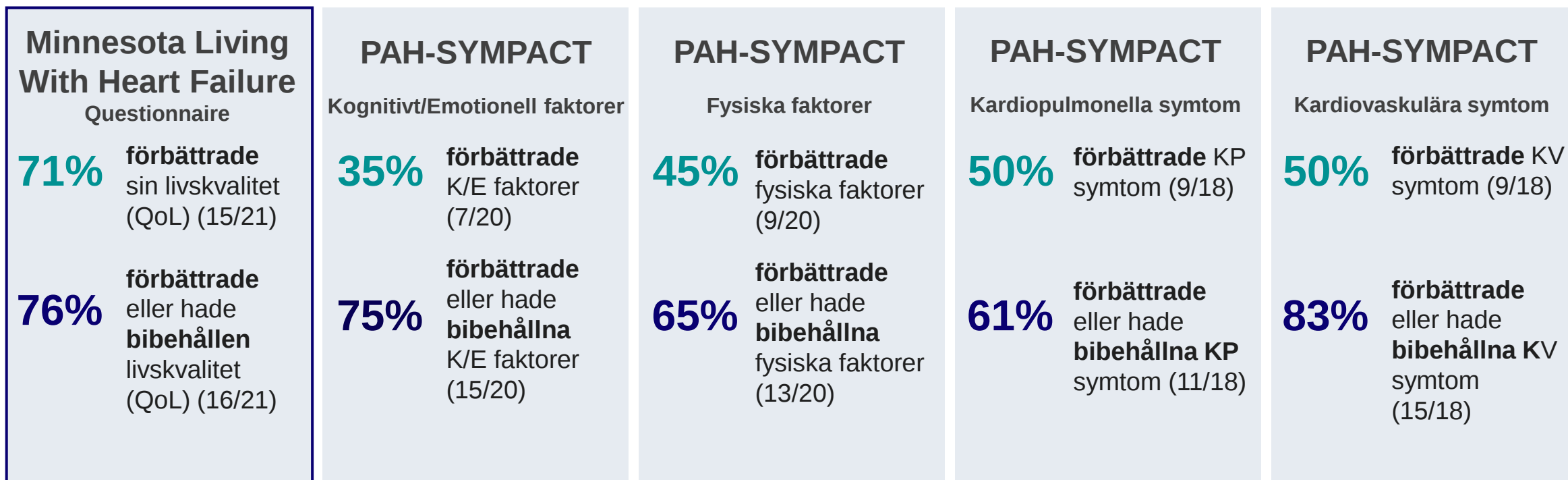


CS1-
behandling

Förbättrad funktion av
höger hjärtkammare



CS1 – Positiv påverkan på livskvalitet (QoL) hos patienter med PAH



Change in Minnesota Living with heart Failure (MLHF) questionnaire och PAH-SYMPACT från baslinjen till vecka 12 for PP (n=21, 21, 20, och 18 utvärderande data punkter).

Fortsatt klinisk utveckling av CS1

- Fortsätta utforska CS1:s effekter på tillbakabildning av lungkärlsombyggnad:
 - Pågående Expanded Access Program (EAP)
 - EAP delstudie: Fluidas bilddiagnostiska teknologi
 - Placebo-kontrollerad Fas IIb-studie



EAP delstudie initierad - utvärderar påverkan av CS1 på tillbakabildning av kärlförändringar i klinik

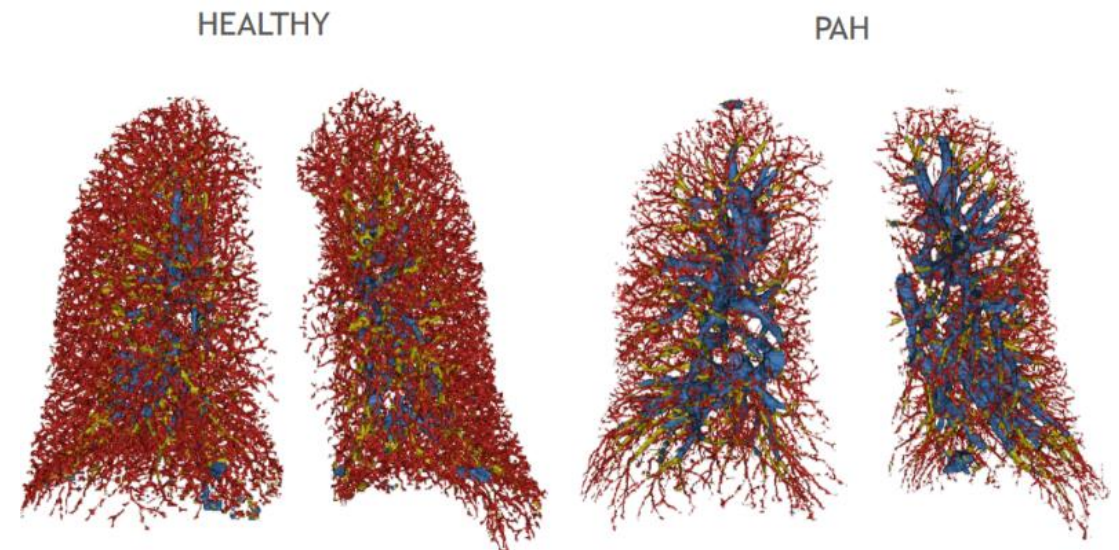
Functional Respiratory Imaging (FRI, Fluida):
Innovativt, icke-invasivt bilddiagnostiskt verktyg som ger patient-specifika insikter i förändringar i lungkär

- Patienter inom Expanded Access Program
- Tre CT-skanningar över en 12-månadersperiod

Förväntat utfall: Visa de strukturella förändringar i de små lungartärerna på CT-bilder och de tillbakabildas

Förväntad slutlig dataleverans: Q1 2026

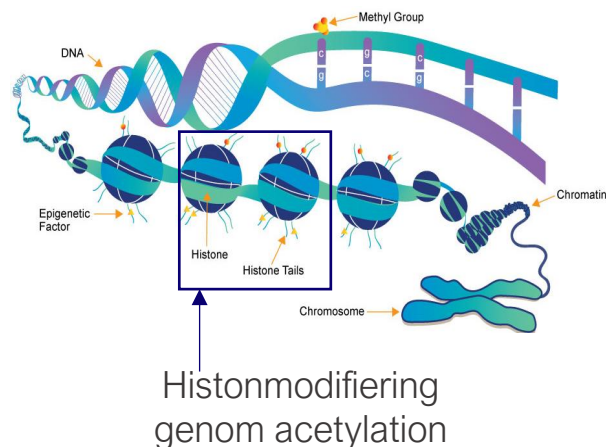
Illustrativt exempel av FRI teknologi



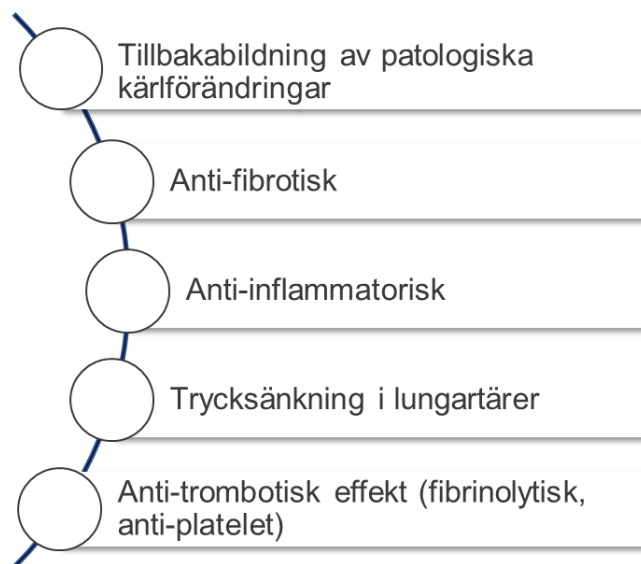
Källa: FLUIDDA company presentation

CS014 – Potentiell ”first in class”-behandling med sjukdomsmodifierande effekter för IPF, PAH and, PH-ILD

CS014, HDAC-hämmare som verkar genom epigenetisk modulering



Flerfaldiga sjukdomsmodifierande egenskaper



CS014 ämnar bli säkert, väl tolererat och sjukdomsmodifierande behandling för IPF, PAH och PH-ILD

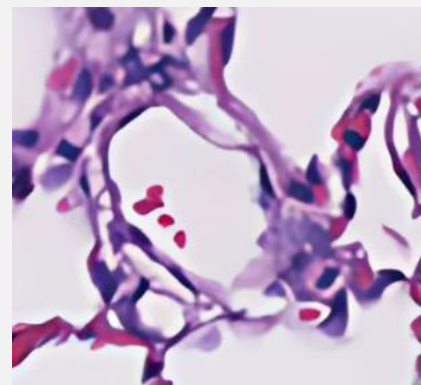
- Ny kemisk substans (NCE) med IP-skydd fram till minst 2042 (utan förlängningar)
- HDAC-hämmare med en förbättrad säkerhetsprofil
- **Precisions deutererad nästa generations VPA**
- Farmakologisk likhet med VPA möjliggör utnyttjande av omfattande klinisk erfarenhet av VPA
- Starka prekliniska bevis

Preklinisk data – CS014 reducerar fibros och kärlpatologi i Sugen/Hypoxia modell

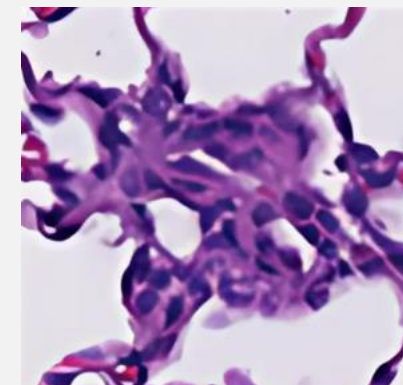
Effekt av 3 veckors oral dosering av CS014 (20–300 mg/kg/dag) på histopatologin i lungans arterioler i Sugen/hypoxi-modellen:*

- **Signifikant minskad fibros** och fibroelastos i arteriolernas intima
- Signifikant dosberoende **minskning** av:
 - **Tilltäppning** av lungarterioler
 - **Proliferation** av endotelceller
 - Förekomst av **plexiforma lesioner**

Frisk lungartär



Försmalnad lungartär (plexiforma lesioner)



Tvärsnitt av artärer (<100 µm)

CS014 Fas I: Först i människa, engångsdosering och upprepad dosering med doseskalering (SAD/MAD) i friska frivilliga



Primär endpoint:
Säkerhet och
tolerabilitet



Sekundär endpoints:
PK egenskaper



Explorativa endpoints:
PD parametrar

Studiedesign



**Avslutad utan
säkerhetsproblem**
jun 2024-feb 2025



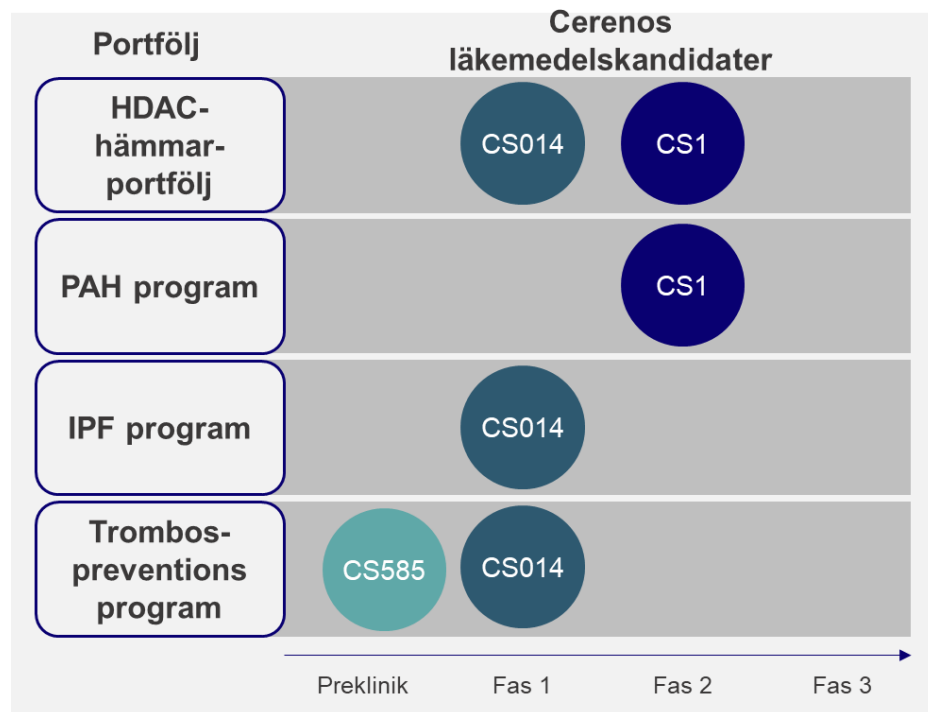
Pågående
dec 2024-apr 2025

Top-line resultat förväntat
juni 2025

Cereno Scientific är starkt positionerat för värdehöjande potential relevant för investeringar och strategiska partnerskap

Cerenos tillgångar/pipeline för:

- Co-development
- Utlicensering
- Försäljning av projekt
- M&A
- Kommersialisering



Viktiga kommande milstolpar 2025 - 2026

CS1

- Fas IIb-studie i samsyn med FDA - H1 2025
- EAP 4-mån uppföljning - H1 2025
- EAP delstudie med Fluida teknologi, resultat - H1 2026
- Fas IIb-studie start - H1 2026

CS014

- Fas I-studie top-line resultat - H1 2025
- Fas II program initiering - H2 2025

CS585

- Preklinisk utveckling pågående - H2 2025



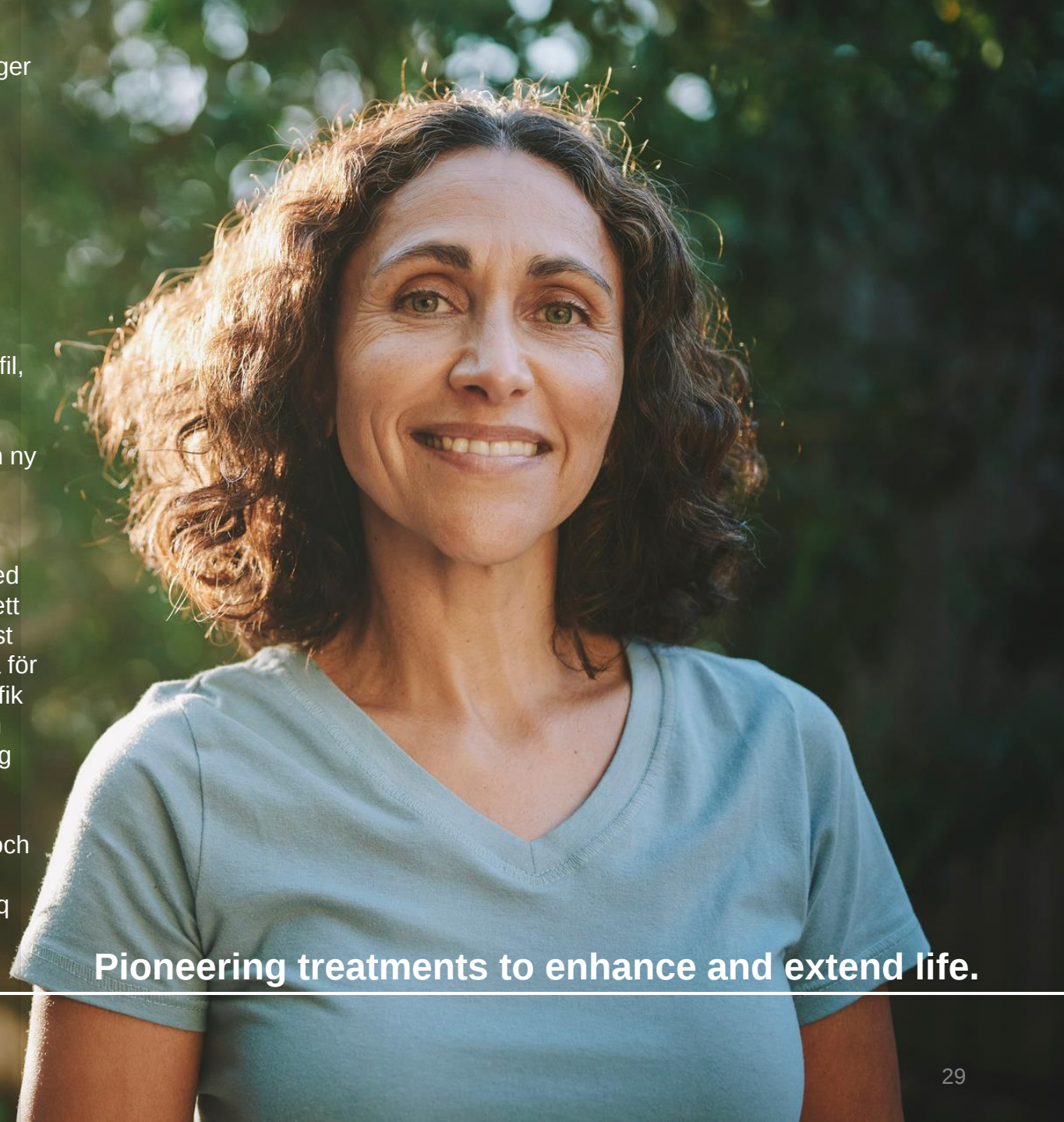
Cereno Scientific förbättrar och förlänger livet för människor som lever med sällsynta kardiovaskulär sjukdomar och lungsjukdomar

Cereno Scientific

Cereno Scientific är banbrytande inom behandlingar som förbättrar och förlänger livet. Vår 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, under utveckling som en effektiv och sjukdomsmodifierande behandling med gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil för den sällsynta sjukdomen pulmonell arteriell hypertension (PAH). En Fas IIa-studie som utvärderade CS1:s säkerhet, tolerabilitet, och explorativa effekt i patienter med PAH visade att CS1 har en bra säkerhetsprofil, är väl tolererad och visade positiv påverkan på explorativa kliniska effektparametrar. Ett Expanded Access-program ger patienter som har slutfört Fas IIa-studien möjlighet att få tillgång till CS1. CS014 i Fas I-utveckling, är en ny kemisk entitet med sjukdomsmodifierande potential. 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).



Pioneering treatments to enhance and extend life.