

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 19 oktober 2016



Europakommissionen tilldelar SOBI003 sär­läkemedelsstatus för behandling av MPS IIIA

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) har av Europakommissionen tilldelats sär­läkemedelsstatus för företagets produkt­kandidat i utvecklingsfas SOBI003. SOBI003 är en kemiskt modifierad human rekombinant sulfamidas för behandling av mukopolysackaridos typ IIIA (Sanfilippos sjukdom typ A). SOBI003 kommer att ingå i EU-registret över klassificerade sär­läkemedel.

MPS IIIA, eller Sanfilippos sjukdom typ A, är en ärftlig systemisk lysosomal sjukdom med en påtaglig påverkan på neurologiska funktioner. Sjukdomen som drabbar barn i ung ålder kännetecknas av allvarlig och kontinuerligt försämrad utveckling och tar sig uttryck i nedsatt kognition, beteendestörningar, försämrad motorisk förmåga och slutligen demens. Väldigt få patienter lever längre än till tjugoårsåldern. Det finns idag ingen behandling för MPS IIIA.

”MPS IIIA är en allvarlig och försvagande sjukdom med förödande konsekvenser för patienterna. Vi hoppas att SOBI003 kommer kunna tillhandahålla dessa patienter med en behandling som idag saknas”, sa Stephen James, Head of Research and Translational Sciences vid Sobi.

Sobi är i slutfasen av den prekliniska utvecklingen av SOBI003. Prekliniska studier med upprepade systemiska infusioner har till dags dato i modellen visat effekt gällande förmågan att minska substratnivåer i hjärnan med tecken på att sjukdomsförloppet modifieras. Sobi avser påbörja kliniska studier under 2018. Fokus för de kliniska studierna kommer vara att utforska säkerhet och effekt av SOBI003 i MPS IIIA-patienter.

Om sär­läkemedelsstatus

För att få sär­läkemedelsstatus inom EU, måste den nya medicinen vara inriktad på behandling av livshotande eller kroniskt försvagande tillstånd som drabbar högst fem av 10 000 personer inom EU och för vilka inga tillfredsställande behandlingar finns, eller där de finns den nya medicinen kan vara till stor nytta för de som lider av sjukdomen. Det kan också beviljas om ett nytt läkemedel inte förväntas ge en tillräcklig avkastning för att motivera investeringen.

Om mukopolysackaridos typ IIIA (Sanfilippos sjukdom typ A)

MPS IIIA eller Sanfilippos sjukdom typ A är en progressiv, livshotande och sällsynt ärftlig sjukdom som drabbar barn i unga åldrar. MPS IIIA tillhör en grupp av sjukdomar som kallas för Lysosomala sjukdomar. I MPS IIIA saknar kroppen förmågan att bryta ner långa sockerkedjor som kallas för heparansulfat, vilket leder till att heparansulfat lagras i lysosomerna. MPS IIIA påverkar främst centrala nervsystemet där den orsakar tilltagande cellförstörelse.ⁱ

Ungefär 1 000 - 2 000 personer tros leva med MPS IIA i EU och USA. Sjukdomen upptäcks ofta ungefär vid fyra års ålder och den förväntade livslängden för dessa barn är sällan längre än till tjugoårsåldern. Det finns idag ingen behandling för MPS IIIA.

Om SOBI003

Produktkandidaten SOBI003 är en kemiskt modifierad variant av en rekombinant humant sulfamidase, avsedd för enzymsättningsbehandling för att reducera inlagringen av heparansulfat i de påverkade cellerna. SOBI003 tas upp av cellerna och transporteras till lysosomerna där heparansulfat bryts ner. Molekylen har modifierats för att ge en förlängd halveringstid, vilket kan möjliggöra transport av SOBI003 över blodhjärnbarriären och underlätta upptaget av SOBI003 i hjärnan.

Om Sobi™

Sobi™ är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat sällsynta sjukdomar. Vårt uppdrag är att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar och tjänster som ger patienter ett bättre liv. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj med specialist- och sällsynta läkemedel i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland, på uppdrag av olika partnerföretag. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2015 till 3,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 700. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information vänligen kontakta**Media relations**

Linda Holmström, Senior Communications Manager

+46 70 873 40 95

linda.holmstrom@sobi.com**Investor relations**

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347-224-0819, +1 212-579-0506, +46 8 697 2135

jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ Valstar et al. Ann Neurol. 2010;68(6):876-87