

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 5 juli 2017



Amerikanska FDA tilldelar SOBI003 sär läkemedelsstatus för behandling av MPS IIIA

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) har av amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA tilldelats sär läkemedelsstatus, Orphan Drug Designation (ODD), för företagets produktkandidat i utvecklingsfas SOBI003. SOBI003 är kemiskt modifierad humant rekombinant sulfamidias för behandling av mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA), också kallad Sanfilippos sjukdom typ A, som är en sällsynt metabol sjukdom.

”Vi är mycket glada över att vi har fått sär läkemedelsstatus av FDA för SOBI003. MPS IIIA är en allvarlig och försvagande sjukdom, och det här utvecklingsprogrammet är en viktig del som pionjär inom sällsynta sjukdomar. Programmet befinner sig nu i sen preklinisk fas och vi räknar med att inleda den första kliniska studien med SOBI003 under 2018”, säger Milan Zdravkovic, Head of Research and Development vid Sobi.

Mukopolysackaridos typ IIIA drabbar barn i ung ålder och kännetecknas av allvarlig och progressivt försämrad utveckling som tar sig uttryck i nedsatt kognition, försämrad motorisk förmåga och slutligen demens. En på 100 000 barn föds med denna ärftliga sjukdom och det är sällsynt att patienter överlever till vuxen ålder. Det finns idag ingen behandling för MPS IIIA. SOBI003 tilldelades sär läkemedelsstatus för MPS IIIA av EU-kommission i oktober 2016.

Om Orphan Drug Designation

Orphan Drug Designation programmet tilldelar sär läkemedelsstatus för kemiska och biologiska läkemedel som är avsedda för säker och effektiv behandling, diagnos eller förebyggande av sällsynta sjukdomar/syndrom och som drabbar färre än 200 00 personer i USA eller som drabbar fler än 200 000 personer men som inte förväntas ge en avkastning som motsvarar kostnaden för utveckling och marknadsföringen av läkemedlet. Att tilldelas sär läkemedelsstatus påverkar inte de generella regulatoriska krav och processer som krävs för att erhålla ett marknads godkännande. Sär läkemedelsstatus kvalificerar företaget som utvecklat läkemedlet till ett antal utvecklingsincitament inom ramen för Orphan Drug Act, som ett skatteavdrag på 50 procent av kostnaden för de kliniska studier som görs i USA och sju års marknadsexklusivitet efter marknads godkännande.ⁱ

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 Lysosomal 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.ⁱⁱ

Ungefär 1 000 - 2 000 personer tros leva med MPS IIIA 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 rekombinant humant sulfamidias, baserad på Sobis egenutvecklade

teknologi för glykanmodifiering, avsedd som enzymsättningsterapi 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.

Om Sobi™

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Sobis 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 sÄrläkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2016 till 5.2 miljarder kronor och antalet anstÄllda var cirka 760. 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

jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ FDA: Developing Products for Rare Diseases & Conditions.

<https://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>

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