

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sweden 23 januari 2018



FDA godkänner klinisk prövningsansökan och beviljar Fast Track-status för läkemedelskandidaten SOBI003 vid behandling av MPS IIIA

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi™\)](#) aviserar att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har utfärdat tillstånd att gå vidare med klinisk prövning (IND) av läkemedelskandidaten SOBI003 i den första studien på människor. Dessutom har SOBI003 beviljats *Fast Track-status* av FDA. SOBI003 är en kemiskt modifierad variant av humant rekombinant sulfamidias för behandling av mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA) som är en sällsynt ämnesomsättningssjukdom även känd som Sanfilippos syndrom typ A.

”Vi är mycket glada över att FDA gett tillstånd till klinisk prövning och även tilldelat Fast Track-status. Detta är viktiga steg mot att inleda den första kliniska prövningen med SOBI003 för barn som lider av MPS IIIA. Fast Track-statusen är en milstaple och ett erkännande av det stora medicinska behov som SOBI003 kan komma att uppfylla”, sade Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer och Head of Research and Development på Sobi.

”MPS IIIA är en livshotande sjukdom och mycket få patienter överlever till vuxen ålder. Det finns stora medicinska behov för dessa patienter eftersom det inte finns någon sjukdomsmodifierande behandling tillgänglig idag”, säger Dr. Paul Harmatz, UCSF Benioff Children's Hospital i Oakland, Kalifornien, USA.

Den kliniska prövningen med SOBI003 förväntas inledas under 2018.

Om mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA) (Sanfilippos syndrom 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.ⁱ

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.

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

Phone: 08 697 20 00 www.sobi.com

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