

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 10 augusti 2018



Första patienten doserad i fas 1/2-studie med SOBI003 för behandling av mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA)

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) meddelar att den första patienten har doserats i fas 1/2-studien SOBI003-001. Det är en öppen, icke-kontrollerad, multipeldos-studie av nio barn i åldern 1–6 år med mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA), även kallad Sanfilippos syndrom A. Syftet med studien är att bedöma säkerhet, tolerabilitet och effekt hos produktkandidaten SOBI003.

”Eftersom det i dag saknas behandling för MPS IIIA innebär studiestarten ett viktigt steg i utvecklingen av en potentiell behandling för denna allvarliga sjukdom,” säger Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

”Jag är mycket nöjd att vi har inkluderat den första patienten i denna viktiga studie. Vi ser fram emot att lära oss mer om hur SOBI003 potentiellt skulle kunna hjälpa patienter i framtiden, då vi fortsätter att inkludera fler patienter i studien,” säger Dr. Paul Harmatz, UCSF Benioff Children's Hospital i Oakland, Kalifornien, USA.

Läkemedelskandidaten SOBI003 har utvecklats internt av Sobi och är en kemiskt modifierad variant av rekombinant humant sulfamid, baserad på Sobis egenutvecklade teknologi för glykanmodifiering, Modifa™. SOBI003 har tilldelats sär-läkemedelsstatus av EU-kommissionen och FDA för MPS IIIA. FDA beviljade Fast Track-status i början av 2018.

Om mukopolysackaridos typ IIIA (MPS IIIA) (Sanfilippo 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 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

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

Om SOBI003

Produktkandidaten SOBI003 är en kemiskt modifierad variant av rekombinant humant sulfamid, baserad på Sobis egenutvecklade teknologi Modifa™ 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.

SOBI003 tilldelades sär-läkemedelsstatus för MPS IIIA av EU-kommissionen i oktober 2016 och av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, i juni 2017. I januari 2018 gav FDA tillstånd till klinisk prövning och beviljade Fast Track-status.

Om Sobi™

Sobi™ är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vår vision är att bli ansedd som en global ledare i att tillhandahålla innovativa behandlingar som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar.

Produktportföljen fokuserar främst på behandlingar inom hemofili och Specialty Care. Partnerskap inom utveckling och kommersialisering av produkter inom Specialty Care är en viktig del av vår strategi. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom proteinteknik och produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2017 till 6,5 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 850. 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