

Liebe Niemann-Pick-Krankheit-Typ-C-Gemeinde,

wir freuen uns Ihnen mitteilen zu können, dass Orphazyme A/S am 16.11. durch ein erstes öffentliches Angebot (Initial Public Offering, IPO) an der Nasdaq OMX-Börse in Kopenhagen notiert wurde.

Orphazyme hat sich entschlossen, an die Börse zu gehen, um das Kapital aufzubringen, das benötigt wird, um alle klinischen und nicht klinischen Studien sowie die verbundenen Arbeiten im Bereich Herstellungsvalidierung, die von den Zulassungsbehörden verlangt werden, abschließen zu können. Auf diese Weise erhalten wir die Möglichkeit, einen Antrag auf Arzneimittelzulassung bei der US-amerikanischen Behörde für Lebensmittel- und Arzneimittelsicherheit (FDA) und einen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen eines Arzneimittels bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) für die Zulassung unseres Prüfpräparats Arimoclomol zur Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C zu stellen.

Darüber hinaus planen wir, den Nettoerlös des IPO zur Beschleunigung der Entwicklung von Arimoclomol als mögliche Therapie weiterer schwerer seltener Proteinfaltungserkrankungen, bei denen wie bei NPC ein hoher unerfüllter medizinischer Bedarf besteht, zu verwenden. Unsere Mission bleibt davon jedoch unberührt und die NPC-Gemeinde kann darauf vertrauen, dass die von NPC betroffenen Patienten und ihre Angehörigen auch weiterhin die Nummer 1 auf unserer Prioritätenliste sind.

Wir verfügen nun über die notwendigen Gelder, um die Daten und Unterlagen zu erzeugen, die für die Zulassungsanträge für NPC benötigt werden, und können unser Unternehmen weiter ausbauen, noch härter arbeiten und uns intensiver auf die notwendige Entwicklung und die Zulassungsarbeiten konzentrieren, um sicherzustellen, dass die Patienten mit NPC Zugang zu Arimoclomol erhalten. NPC bleibt unser Fokus und das Projekt, das am weitesten fortgeschritten ist: Der Einschluss in die Phase-3-Studie über Arimoclomol ist vollständig abgeschlossen und die Studie wird derzeit durchgeführt. 50 Patienten sind in die Studie eingeschlossen und nehmen an der 12-monatigen randomisierten, placebokontrollierten Behandlungsphase der Studie teil. Wir können diesen Patienten und ihren Angehörigen nicht genug dafür danken, dass sie diese Studie möglich machen und möchten ihnen unseren Respekt für ihren Mut aussprechen, mit dem sie dazu beitragen, die Wissenschaft für die gesamte Gemeinde voranzubringen.

Der erste Patient wurde im Juni 2016 in die Phase-3-Studie eingeschlossen. Von den 50 eingeschlossenen Patienten haben fünf den 12-monatigen Behandlungszeitraum bereits abgeschlossen und alle fünf haben sich entschieden, in die offene Verlängerungsphase der Studie zu wechseln, in der Patienten weiter mit Arimoclomol behandelt werden. Da der letzte Patient im Mai 2017 eingeschlossen wurde, rechnen wir damit, dass uns im Herbst 2018 Topline-Ergebnisse aus dieser Studie vorliegen.

Wir fühlen uns geehrt, dass wir seit 2010 mit der NPC-Gemeinde zusammenarbeiten dürfen und sind davon überzeugt, dass wir dank des IPO in der bestmöglichen Position sind, um den nächsten Teil der Reise gemeinsam zu absolvieren. Angesichts der Dringlichkeit, mit der Patienten mit NPC Arimoclomol benötigen, und unter der Annahme, dass die Phase-3-Studie positive Ergebnisse erbringt, erkennen wir unsere Verantwortung an, dieses Ziel zu erreichen.

Mit freundlichen Grüßen

Anders Hinsby
CEO, Orphazyme

ORPHAZYME A/S
OLE MAALØES VEJ 3
DK-2200 COPENHAGEN N
DÄNEMARK
UMSATZSTEUER-ID: DK32266355

GESCHÄFTSFÜHRER
ANDERS HINSBY

AMH@ORPHAZYME.COM

17.11.2017