

Gentile comunità Niemann-Pick tipo C,

siamo lieti di annunciarvi che il 16 novembre Orphazyme A/S è stata inclusa nel Nasdaq OMX presso la Borsa di Copenhagen tramite una Offerta pubblica iniziale (IPO).

Orphazyme ha deciso di diventare un'azienda quotata in borsa per acquisire il capitale necessario per completare tutti gli studi, clinici e non clinici, e il lavoro di convalida della produzione richiesti dalle autorità normative. Questo ci permetterà di presentare una Richiesta di nuovo farmaco (New Drug Application) presso la FDA e una Richiesta di autorizzazione alla commercializzazione (Marketing Authorization Application) presso l'EMA per l'autorizzazione del nostro prodotto sperimentale arimoclomol per il trattamento della malattia di Niemann-Pick tipo C (NPC).

Pensiamo anche di utilizzare i fondi netti derivanti dall'IPO per far progredire lo sviluppo di arimoclomol per il potenziale trattamento di altre gravi malattie rare derivanti da misfolding proteico, per le quali, come per la NPC, permane un'elevata richiesta medica non soddisfatta. Tuttavia, la nostra missione rimane invariata e la comunità NPC può essere certa che i pazienti affetti da NPC e le loro famiglie continueranno ad essere la prima delle nostre priorità.

Ora che abbiamo i fondi necessari per produrre i dati e la documentazione necessari per la richiesta normativa per l'NPC, allargheremo la nostra organizzazione, lavoreremo ancora di più e ci focalizzeremo con maggiore intensità sull'esecuzione degli sviluppi e delle attività normative necessarie per fare in modo che arimoclomol diventi disponibile per i pazienti affetti da NPC.

L'NPC rimane il nostro programma principale e più avanzato, mentre è stato completato l'arruolamento per la sperimentazione di Fase 3, attualmente in corso. 50 pazienti sono stati arruolati per partecipare al periodo di 12 mesi di trattamento randomizzato, controllato da placebo, che costituisce la sperimentazione. Non possiamo ringraziare abbastanza questi pazienti e le loro famiglie per la loro disponibilità a rendere possibile la sperimentazione, oltre che per il loro coraggio nel contribuire al progresso della scienza per tutta la comunità.

Il primo paziente è stato arruolato nella sperimentazione di Fase 3 nel giugno 2016. Dei 50 pazienti arruolati, cinque hanno già completato il periodo di trattamento di 12 mesi, e tutti hanno scelto di proseguire nell'estensione in aperto della sperimentazione, in cui a tutti verrà somministrato arimoclomol come trattamento continuativo. Poiché l'ultimo paziente è stato arruolato nel maggio del 2017, ci aspettiamo di avere i primi risultati di questa sperimentazione di Fase 3 nell'autunno del 2018.

Siamo orgogliosi di lavorare con la comunità NPC fin dal 2010 e crediamo che l'IPO ci permetterà di essere nella posizione migliore possibile per fare insieme la prossima parte del viaggio. Riconoscendo l'urgente necessità di rendere disponibile arimoclomol ai pazienti affetti da NPC, e ipotizzando che la sperimentazione di Fase 3 abbia successo, accettiamo la nostra responsabilità di raggiungere questo traguardo.

Cordiali saluti,

Anders Hinsby  
Amministratore delegato, Ophazyme

---

ORPHAZYME A/S  
OLE MAALØES VEJ 3  
DK-2200 COPENHAGEN N  
DANIMARCA  
NUM. CVR: DK32266355

AMMINISTRATORE DELEGATO  
ANDERS HINSBY

AMH@ORPHAZYME.COM

17 NOVEMBRE 2017