

Do społeczności osób dotkniętych chorobą Niemanna Picka typu C,

Z przyjemnością informujemy, że od dnia 16 listopada firma Orphazyme A/S jest notowana na giełdzie Nasdaq OMX w Kopenhadze w ramach pierwszej oferty publicznej (IPO).

Firma Orphazyme zdecydowała się na dołączenie do innych spółek giełdowych w celu zgromadzenia kapitału niezbędnego do ukończenia wszystkich klinicznych i nieklinicznych badań wraz z walidacją procesów produkcyjnych wymaganych przez organy regulacyjne. Umożliwi to zgłoszenie wniosku o dopuszczenie nowego leku w organizacji FDA oraz wniosku o dopuszczenie marketingowe w organizacji EMA dla naszego badanego leku arimocloamol, przeznaczonego do leczenia choroby Niemanna Picka typu C (NPC).

Zgromadzone w ramach IPO środki netto zamierzamy także przeznaczyć na dalszy rozwój leku arimocloamol w zakresie możliwości leczenia innych rzadkich chorób związanych z nieprawidłowo pofałdowanymi białkami, których leczenie – podobnie jak choroba NPC – jest w dużym stopniu nieznane. Jednak nasza misja pozostanie niezmienną i społeczność osób dotkniętych chorobą NPC może mieć pewność, że pacjenci i ich rodziny będą nadal priorytetem dla naszej firmy.

Mając teraz dostęp do potrzebnych funduszy na opracowanie danych i dokumentacji do wniosków dotyczących NPC, rozbudujemy naszą organizację, kładąc jeszcze większy nacisk na przeprowadzenie niezbędnych prac badawczych i działań wymaganych przez organy regulacyjne, tak aby zapewnić dostępność leku arimocloamol dla pacjentów cierpiących na NPC.

Leczenie NPC pozostanie naszym głównym i najbardziej zaawansowanym programem z rozpoczętym i trwającym badaniem fazy 3 leku arimocloamol. 50 pacjentów dołączyło do prób na okres 12 miesięcy do badań randomizowanych z grupą kontrolną placebo. Jesteśmy bardzo wdzięczni tym osobom oraz ich rodzinom za ich zaangażowanie na rzecz pomyślnego przeprowadzenia badań, a także za ich pomoc w rozwoju nauk medycznych dla całej społeczności osób dotkniętych chorobą NPC.

Pierwszy pacjent dołączył do fazy 3 badań w czerwcu 2016 r. Z 50 zarejestrowanych pacjentów, pięć osób zakończyło już 12-miesięczny okres terapii i te osoby zgłosiły się do przejścia do przedłużonej fazy otwartej badania, podczas której wszyscy otrzymują arimocloamol w ramach kontynuacji terapii. Ponieważ ostatni pacjent dołączył w maju 2017 r., oczekujemy, że wyniki fazy 3 tego badania będą dostępne jesienią 2018 r.

Jesteśmy zaszczyceni możliwością współpracy ze społecznością NPC od 2010 r. i wierzymy, że oferta IPO sprawi, że będziemy w stanie kontynuować nasze wspólne działania. Zdajemy sobie sprawę, że sprawa dostępności leku arimocloamol jest bardzo pilna. Zakładamy, że wyniki fazy 3 badania będą pozytywne i zdajemy sobie sprawę z wagi tego przedsięwzięcia.

Z poważaniem,

Anders Hinsby  
CEO, Orphazyme

---

ORPHAZYME A/S  
OLE MAALØES VEJ 3  
DK-2200 COPENHAGEN N  
DANIA  
CVR NO: DK32266355

CHIEF EXECUTIVE OFFICER  
ANDERS HINSBY

AMH@ORPHAZYME.COM

17 LISTOPADA 2017 R.