

Chers membres de la communauté de la maladie de Niemann-Pick de type C,

Nous avons le plaisir de vous informer que le 16 novembre Orphazyme A/S s'est introduit en bourse et a été coté au Nasdaq OMX de Copenhague.

Orphazyme a décidé de devenir une société cotée en bourse afin de lever le capital nécessaire pour mener à bien toutes ses études cliniques et non cliniques ainsi que ses activités de validation de la fabrication exigée par les autorités réglementaires. Cela nous permettra de faire une demande d'autorisation de mise sur le marché auprès des autorités américaines (FDA - New Drug Application) et européennes (EMA) pour l'approbation de notre médicament expérimental, l'arimoclomol pour le traitement de la maladie de Niemann-Pick de type C.

Nous envisageons également d'utiliser le produit net issu de l'introduction en bourse pour financer la poursuite du développement de l'arimoclomol pour le traitement potentiel d'autres maladies rares et graves d'anomalie de repliement des protéines pour lesquelles, comme pour la maladie de NPC, le besoin médical insatisfait reste élevé. Cependant, notre mission reste inchangée et nous voulons réaffirmer à la communauté de la maladie de NPC que les patients et les familles concernés par cette pathologie resteront notre priorité.

À présent que nous disposons des fonds nécessaires pour générer les données et la documentation requises pour les soumissions réglementaires concernant la maladie de NPC, nous allons développer notre entreprise, redoubler nos efforts et nous dédier davantage à l'exécution des développements nécessaires et des activités réglementaires afin de nous assurer que l'arimoclomol puisse être mis à la disposition des patients atteints de la maladie de NPC.

Notre programme lié à la maladie de NPC reste notre tout premier objectif et le plus abouti, avec notre essai de phase 3 portant sur l'arimoclomol pour lequel les patients ont été recrutés et qui se poursuit. 50 patients ont été recrutés dans l'essai pour participer à la période de traitement randomisé et contre placebo de 12 mois. Nous ne saurions jamais assez remercier les patients et les familles pour leur implication qui a rendu l'essai possible, ainsi que pour leur courage de faire avancer la science au profit de la communauté tout entière.

Le premier patient a été recruté dans l'essai de phase 3 en juin 2016. Sur les 50 patients recrutés, cinq patients ont déjà terminé leur période de traitement de 12 mois. Ces patients ont tous fait le choix de passer à la phase d'extension en ouvert de l'essai au cours de laquelle ils reçoivent tous de l'arimoclomol en poursuite de traitement. Étant donné que le dernier patient a été recruté en mai 2017, nous espérons avoir les résultats dans les grandes lignes de cet essai de phase 3 au cours de l'automne 2018.

Nous nous honorons de travailler avec la communauté de la maladie de NPC depuis 2010 et nous sommes persuadés que l'introduction en bourse nous garantit d'être dans la meilleure des positions pour la prochaine étape de notre collaboration. Nous sommes conscients du besoin urgent d'apporter l'arimoclomol aux patients atteints de la maladie de NPC et, en espérant que les résultats de la phase 3 seront positifs, nous assumons notre responsabilité pour atteindre cet objectif.

Bien cordialement,

Anders Hinsby
PDG, Orphazyme

ORPHAZYME A/S
OLE MAALØES VEJ 3
DK-2200 COPENHAGEN N
DANEMARK
NUM. D'IMMATRICULATION CVR :
DK32266355

PRESIDENT DIRECTEUR GENERAL
ANDERS HINSBY

AMH@ORPHAZYME.COM

17 NOVEMBRE 2017