

A los afectados por la enfermedad de Niemann-Pick tipo C.

Estimados amigos:

Nos complace informarles de que el 16 de noviembre Orphazyme A/S fue incluida en el Nasdaq OMX Exchange en Copenhague a través de una oferta pública inicial (OPI).

Orphazyme ha decidido pasar a ser una empresa con cotización oficial para obtener el capital necesario para llevar a cabo todos los estudios clínicos y no clínicos y la labor de validación que exigen las autoridades reguladoras. Ello nos va a permitir presentar una solicitud de Autorización de Nuevo Medicamento a la FDA y una solicitud de Autorización de Comercialización a la EMA, para obtener la aprobación de arimocromol, nuestro producto en investigación, destinado al tratamiento de la enfermedad de Niemann-Pick tipo C.

También planeamos utilizar los beneficios netos de la OPI para avanzar en el desarrollo de arimocromol para el tratamiento potencial de más enfermedades graves raras de proteínas mal plegadas, en las que sigue habiendo unas necesidades médicas notables sin satisfacer, al igual que con NPC. No obstante, nuestra misión sigue siendo la misma y los afectados por la NPC pueden estar seguros de que los pacientes afectados por NPC y sus familias van a seguir siendo nuestra prioridad.

Ahora que ya tenemos los fondos necesarios para generar la información y la documentación pertinente para presentar las solicitudes reglamentarias de NPC, vamos a expandir nuestra organización, trabajar con más empeño y centrarnos con más intensidad en ejecutar el desarrollo y acciones reglamentarias indicadas para garantizar que arimocromol esté disponible para todos los pacientes de NPC.

NPC sigue siendo nuestro programa principal y el más avanzado, con el ensayo en fase 3 de arimocromol ya completamente suscrito y en marcha. Hay 50 pacientes incluidos en el ensayo para participar en el periodo de tratamiento de 12 meses aleatorizado y controlado por placebo. Estamos realmente agradecidos a estos pacientes y a sus familias por su participación y su contribución para que el ensayo clínico sea posible, así como por su valentía promover el avance de la ciencia para toda la sociedad.

El primer paciente se incluyó en el ensayo en fase 3 en junio de 2016. De los 50 pacientes incluidos, cinco ya han completado el periodo de tratamiento de 12 meses, y todos ellos han optado por continuar en la extensión sin enmascaramiento del ensayo en el que todos reciben arimocromol en tratamiento continuado. El último paciente se incluyó en mayo de 2017, por lo que esperamos obtener los resultados principales de este ensayo en fase 3 en otoño de 2018.

Es un honor el haber podido trabajar con la comunidad NPC desde 2010, y creemos que la OPI va a garantizar que nos encontremos en la mejor situación posible para emprender juntos la próxima etapa de este viaje. Desde el reconocimiento de la necesidad urgente de facilitar arimocromol a pacientes de NPC, y suponiendo que los resultados del ensayo en Fase 3 van a ser positivos, reconocemos nuestra responsabilidad para que se logre este objetivo.

Les saluda atentamente,

Anders Hinsby
Director General, Ophazyme

ORPHAZYME A/S
OLE MAALØES VEJ 3
DK-2200 COPENHAGUE N
DINAMARCA
Nº CVR: DK32266355

DIRECTOR GENERAL
ANDERS HINSBY

AMH@ORPHAZYME.COM

17 DE NOVIEMBRE DE 2017