

PRESSMEDDELANDE



Hansa Biopharma ingår exklusivt avtal med Sarepta Therapeutics för utveckling och kommersialisering av imlifidase som förbehandling inför genterapi i utvalda indikationer

Hansa beviljar Sarepta en exklusiv licens att utveckla och marknadsföra imlifidase som potentiell förbehandling inför behandling med genterapi vid Duchennes muskeldystrofi (DMD) och Limb-girdle muskeldystrofi (LGMD) för patienter med neutraliserande antikroppar (NAbs) mot adeno-associerade virus (AAV).

Enligt avtalsvillkoren kommer:

- Hansa att erhålla en förskottsbetalning om 10 MUSD och ha rätt att erhålla upp till 397,5 MUSD i milstolpsbetalningar avseende utveckling, regulatoriska mål och försäljning.
- Hansa att bokföra all försäljning av imlifidase och ha rätt till en stegrande royalty - höga ensiffriga upp till låga tvåsiffriga nivåer - på all försäljning av genterapi som möjliggörs genom förbehandling med imlifidase hos patienter som testats positiva med avseende på NAb.

Lund, Sverige 2 juli 2020 Hansa Biopharma, ("Hansa") ledaren inom immunmodulerande enzymteknik för sällsynta IgG-medierade sjukdomar, meddelade idag att bolaget har tecknat ett samarbetsavtal med Sarepta Therapeutics Inc. ("Sarepta"), ledaren inom genmedicin med hög precision för sällsynta sjukdomar, genom vilket Sarepta beviljas en exklusiv världsomfattande licens att utveckla och marknadsföra imlifidase som en förbehandling för att möjliggöra Sareptas genterapibehandling av Duchennes muskeldystrofi (DMD) och Limb-girdle muskeldystrofi (LGMD). Förbehandlingen är avsedd för patienter med neutraliserande antikroppar (NAb-positiva patienter) mot adeno-associerade virus (AAV), teknologin som ligger till grund för Sareptas genterapiprodukter.

Sarepta ansvarar för att genomföra prekliniska och kliniska studier med imlifidase och samtliga efterföljande regulatoriska godkännanden. Sarepta kommer även att ansvara för marknadsföringen av imlifidase som en förbehandling till Sareptas genterapibehandlingar efter potentiellt godkännande.

Enligt avtalsvillkoren kommer Hansa att erhålla en förskottsbetalning om 10 MUSD och ha rätt att erhålla upp till 397,5 MUSD i milstolpsbetalningar avseende utveckling, regulatoriska mål och försäljning. Hansa kommer att bokföra försäljningen av imlifidase och erhålla en stegrande royalty - höga ensiffriga upp till låga tvåsiffriga nivåer - på Sareptas försäljning av genterapier som ges till NAb-positiva patienter och har möjliggjorts genom förbehandling med imlifidase

– Vi ser en betydande potential för vår enzymteknik generellt inom genterapiområdet och vi är mycket glada att inleda samarbetet med Sarepta, en ledande aktör inom området, för att använda de unika egenskaperna hos imlifidase.

Målet är att potentiellt kunna möjliggöra genterapibehandling för patienter som i dagsläget, till följd av befintliga neutraliserande antikroppar, inte kan behandlas med dessa banbrytande terapier inom två indikationer med ett mycket högt uppfyllt medicinskt behov, säger Søren Tulstrup, vd och koncernchef, Hansa Biopharma.

Informationen är sådan information som det åligger Hansa Biopharma AB att offentliggöra i enlighet med EU-förordningen om marknadsmissbruk.

Informationen lämnades för offentliggörande genom nedanstående kontaktpersons försorg kl. 07:30 (CET) den 2 juli 2020.

Kontaktuppgifter

Klaus Sindahl
Head of Investor Relations
Hansa Biopharma
M: +46 (0) 709-298 269
E: klaus.sindahl@hansabiopharma.com

Om Hansa Biopharma

Hansa Biopharma använder sin patenterade immunmodulerande enzymteknologiplattform för att utveckla behandlingar för sällsynta immunoglobulin G (IgG)-medierade autoimmuna sjukdomstillstånd, transplantat-avstötning och cancer.

Bolagets främsta produktkandidat, imlifidase, är ett unikt antikropps-klyvande enzym under utveckling som kan möjliggöra njurtransplantation av högsensitiserade patienter, och har potential att utvecklas ytterligare inom transplantation av andra solida organ och vävnader, samt akuta autoimmuna sjukdomar.

CHMP/EMA har antagit ett positivt uttalande och rekommenderar ett villkorligt godkännande av imlifidase för desensitiseringsbehandling av högsensitiserade vuxna patienter som har genomgått en njurtransplantation med en positiv korstestning mot en tillgänglig avliden donator. Godkännande av det positiva uttalandet från EU-kommissionen förväntas under tredje kvartalet 2020.

Hansas forsknings- och utvecklingsprogram är även inriktat på att ta fram nästa generation av IgG-klyvande enzymer med potentiellt lägre immunogenicitet, vilka är lämpliga för att möjliggöra upprepad dosering vid skovvis återkommande autoimmuna sjukdomar och onkologi. Eller: Hansas forsknings- och utvecklingsprogram driver på företagets enzymteknik för att utveckla nästa generation av IgG-klyvande enzymer med potentiellt lägre immunogenicitet, vilka är lämpliga för upprepad dosering vid skovvis återkommande autoimmuna sjukdomar och onkologi. Hansa Biopharma är baserat i Lund och har verksamhet i både Europa och USA.

Hansa Biopharma
Scheelevägen 22
223 63 Lund
Telefon: +46 46 16 56 70
www.hansabiopharma.com

Nasdaq OMX Stockholm
Kortnamn: HNSA
ISIN: SE 0002148817

"Sarepta fortsätter att utöka sin ledande position inom genetisk medicin och arbetar för att säkerställa att vi kan behandla så många patienter som möjligt med dessa sällsynta och förödande sjukdomstillstånd"

"Hansas teknologi är lovande för att eliminera de IgG-antikroppar som förhindrar dosering av AAV-baserade genterapier hos patienter med existerande antikroppar. Eftersom våra nuvarande potentiella behandlingsmetoder visar starka resultat i tidiga kliniska studier, kan lösningar som möjliggör dosering av patienter med neutraliserade antikroppar potentiellt hjälpa de som annars skulle lämnats utan tillgång till dessa behandlingsmetoder", säger Doug Ingram, President och CEO, Sarepta Therapeutics.

Hansa Biopharma kommer att hålla en telefonkonferens med vd Søren Tulstrup, forskningschef & operativ chef Christian Kjellman samt finanschef Donato Spota.

Telefonkonferens "Samarbetsavtal med Sarepta Therapeutics"

En telefonkonferens kommer att hållas 2 juli 2020 kl. 10.00 CET. En ljudinspelning görs och kommer att finnas tillgänglig på Hansas webbplats. <https://hansa.eventcdn.net/202007/>

Telefonnummer för deltagarna

SE: + 46 81 241 09 52

UK: + 44 203 769 6819

US: + 1 646 787 0157

Om imlifidase

Imlifidase är ett unikt antikroppsklyvande enzym av *Streptococcus pyogenes*, som specifikt klyver IgG och hämmar en IgG-medierad immunrespons. Det har ett snabbt verkningsförlopp, klyver IgG-antikroppar och hämmar deras reaktionsförmåga inom ett par timmar efter att det har administrerats. CHMP/EMA har antagit ett positivt yttrande och rekommenderar ett villkorat godkännande av imlifidase för desensibiliseringsbehandling inför njurtransplantation hos högsensitiserade vuxna patienter som genomgått en positiv korstestning mot en tillgänglig avliden donator. Efter det positiva yttrandets förväntas ett formellt godkännande av Europeiska kommissionen under det tredje kvartalet 2020. Hansa har också nått en överenskommelse med FDA om en regulatorisk väg framåt för imlifidase vid njurtransplantation hos högsensitiserade patienter i USA och har tre pågående fas 2-studier inom autoimmuna sjukdomar och indikationer efter transplantationer.

Om genterapi och neutraliserande antikroppar

Genterapi är en växande och revolutionerande behandlingsmetod där friska gensekvenser förs in i en patients celler. Behandlingarna kan potentiellt bota monogenetiska sjukdomar som hemofili (blödarsjuka) och muskeldystrofi med en enda dos. För att föra in generna i cellen används ofarliga rekombinanta virus. Till följd av genterapins delvis virala ursprung, bär en särskild undergrupp av patienterna på neutraliserande anti-AAV-antikroppar mot genterapi-produkterna, beroende på vilken AAV serotyp som används, som utgör ett hinder för att komma ifråga för behandlingen.

Antikropparna förhindrar en effektiv överföring av friska gensekvenser och kan utgöra en säkerhetsrisk. Imlifidase som förbehandling har potential att neutralisera antikropparna inför genterapi. På liknande sätt har imlifidase potential att möjliggöra en eventuellt nödvändig återdosering av genterapin för alla patienter.

Om Duchennes muskeldystrofi (DMD)

Duchennes muskeldystrofi är en sällsynt genetisk sjukdom som orsakas av en mutation i DMD-genen som kodar för proteinet dystrofin. DMD är en irreversibel, progressiv sjukdom som över tid försvagar och skadar musklerna i kroppen. DMD har dödlig utgång och i nuläget finns inget botemedel. DMD drabbar en av 3 500 till 5 000 män globalt (cirka 400-500 årliga nya fall i USA) och gör att musklerna i kroppen blir svaga. De flesta patienter sitter i rullstol vid 12 års ålder.

Om limb-girdle muskeldystrofi (LGMD)

Limb-girdle muskeldystrofi (LGMD) är en genetiskt och kliniskt heterogen grupp sällsynta muskeldystrofier. Den kännetecknas av en progressiv muskelförsvagning som främst drabbar höft- och axelmusklerna. LGMD har ett autosomalt nedärvningsmönster och det finns i dag inget känt botemedel eller någon behandling. Den kan orsakas av en enda gendefekt som påverkar specifika proteiner inom muskelcellen, inklusive de proteiner som ska hålla

muskelmembranet intakt. LGMD har en global prevalens om cirka 1,63 per 100 000 personer världen över.