

PRESSMEDDELANDE

Hansa Biopharma planerar att under 2023 tillsammans med sin samarbetspartner Sarepta Therapeutics inleda en klinisk studie av imlifidase som förbehandling till Sareptas genterapi SRP-9001 mot DMD

- Den kliniska studien kommer att utvärdera imlifidase som förbehandling hos patienter med existerande IgG-antikroppar mot Sareptas SRP-9001, en AAV-baserad genterapi för behandling av DMD
- DMD är en irreversibel, progressiv sjukdom som drabbar en av 3 500–5 000 pojkar som föds över hela världen¹

Lund, Sverige, 2 november 2022. Hansa Biopharma AB, "Hansa" (Nasdaq Stockholm: HNSA), en pionjär inom enzymteknik för sällsynta immunologiska tillstånd, meddelade idag att företagets partner Sarepta Therapeutics planerar att inleda en klinisk studie under 2023 för att utvärdera imlifidase som förbehandling hos patienter med Duchennes muskeldystrofi (DMD) som redan har IgG-antikroppar mot den adeno-associerade virusvektorn (AAV) rh74 för att möjliggöra en säker och effektiv dosering med SRP-9001. SRP-9001 är Sareptas genterapikandidat för behandling av DMD. Den 29 september 2022 meddelade Sarepta att företaget har lämnat in en så kallad "biological license application" (BLA) till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för ett accelererat godkännande av SRP-9001 för behandling av patienter med DMD.

DMD är en sällsynt och dödlig genetisk sjukdom som orsakas av en mutation i *DMD-genen* som kodar för proteinet dystrofin. Sjukdomen är irreversibel och progressiv och gör att musklerna i kroppen undan för undan försvagas och skadas, vilket leder till att flertalet patienter blir rullstolsburna vid cirka tolv års ålder. Man uppskattar för närvarande att DMD drabbar en av 3 500 till 5 000 pojkar som föds i världen. Ungefär 14 % av patienterna har befintliga IgG-antikroppar mot rh74-vektorn.²

Det prekliniska arbete som utförts av Hansa och Sarepta demonstrerade imlifidases förmåga att reducera befintliga IgG-antikroppar mot rAAVrh74 och därigenom möjliggöra säker och framgångsrik behandling med SRP-9001. Dessa resultat stödjer klinisk utveckling av imlifidase som en förbehandling vid administrering av SRP-9001 för patienter som redan har antikroppar mot rAAVrh74, när så är lämpligt.

Sarepta, en ledande aktör inom genetisk precisionsmedicin för sällsynta sjukdomar, beviljades 2020 en exklusiv, världsomfattande licens av Hansa att utveckla och marknadsföra imlifidase som en förbehandling för Sareptas genterapibehandlingar för DMD och Limb-girdle muskeldystrofi ("LGMD"). Enligt villkoren i avtalet har Hansa rätt till totalt upp till 397,5 miljoner USD vid specifika utvecklingsmässiga, regulatoriska och försäljningsmässiga milstolpar. Hansa kommer att bokföra all försäljning av imlifidase och erhålla royaltyavgifter på upp till tvåsiffriga nivåer av Sareptas försäljning av genterapi vid behandling av patienter med befintliga antikroppar hos vilka behandlingen möjliggjorts genom förbehandling med imlifidase.

"Befintliga antikroppar mot de AAV-vektorer som används inom ett brett spektrum av genterapier kan utgöra ett stort behandlingshinder och vi ser en betydande potential hos vår teknik med antikroppsklyvande enzymer när det gäller att övervinna detta hinder", säger Hansas VD Søren Tulstrup. "Vi är mycket glada över de resultat vi har sett i den prekliniska fasen av vårt samarbete med Sarepta. Resultaten stärker vår förhoppning om att imlifidases unika egenskaper kan möjliggöra genterapeutisk behandling av patienter som idag inte kan bli aktuella för dessa banbrytande behandlingar på grund av att de har antikroppar".

¹ National Institutes of Health. Genetics Home Reference. Duchenne and Becker muscular dystrophy; <https://ghr.nlm.nih.gov/condition/duchenne-and-becker-muscular-dystrophy>

² <https://investorrelations.sarepta.com/static-files/e1fd0d6f-7819-45da-a233-5e516700d036>

Denna information är sådan som Hansa Biopharma AB är skyldig att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades för offentliggörande genom nedanstående kontaktpersons försorg den 2 november 2022, kl.21:30 CET.

Om Hansa Biopharma

Hansa Biopharma är ett banbrytande biofarmaceutiskt företag i kommersiell fas som utvecklar innovativa, livräddande och livsförändrande behandlingar för patienter med sällsynta immunologiska sjukdomstillstånd. Hansa har utvecklat en ledande enzymbehandling för klyvning av IgG-antikroppar (immunoglobulin) som ger högsensitiserade patienter möjlighet till njurtransplantation. Hansa har ett stort och växande forsknings- och utvecklingsprogram baserat på företagets egenutvecklade enzymteknologiplattform för IgG-klyvning. Målet är att tillgodose medicinska behov inom transplantation, autoimmuna sjukdomar, genterapi och cancer. Hansa Biopharma är baserat i Lund och har verksamhet i Europa och USA. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm under kortnamnet HNSA. Läs mer på <https://hansabiopharma.com>.

Om genterapi och redan existerande antikroppar

Genterapi är en växande och revolutionerande behandlingsteknik där friska genssekvenser förs in i patientens celler. Behandlingarna kan potentiellt bota monogena sjukdomar som blödarsjuka och muskeldystrofi genom en enda dos. Rekombinanta virus används för att föra in de friska generna i cellen. På grund av att genterapikonstruktionerna delvis har viralt ursprung har en viss del av patienterna anti-AAV-antikroppar mot genterapiprodukter, beroende på vilken AAV-serotyp som används, vilket utgör ett hinder för att patienten ska kunna få behandlingen.

Antikroppar förhindrar en effektiv överföring av den friska genssekvensen och kan vara ett säkerhetsproblem. Imlifidase som förbehandling kan ha potential att eliminera redan befintliga antikroppar före genterapi. På samma sätt kan imlifidase ha potential att möjliggöra en eventuellt nödvändig omdosering av genterapi för alla patienter.

Om imlifidase

Imlifidase är ett unikt antikroppsklyvande enzym från *Streptococcus pyogenes* som specifikt inriktar sig på IgG och förhindrar en IgG-medierad immunreaktion. Verkningsförloppet för imlifidase är snabbt och IgG-antikropparna klyvs och inaktiveras inom två till sex timmar efter administreringen. Imlifidase har ett villkorat godkännande i EU och marknadsförs under handelsnamnet Idefirix® för desensitiseringsbehandling av högsensitiserade vuxna njurtransplantationspatienter med en positiv korstestning mot en tillgänglig avliden donator.

--SLUT PÅ PRESSMEDDELANDET--

För ytterligare information:

Klaus Sindahl, *Head of Investor Relations*

Mobiltelefon: +46 (0) 709-298 269

E-post: klaus.sindahl@hansabiopharma.com