

PRESS RELEASE

Hansa Biopharma och Genethon ingår samarbete inom utveckling av imlifidase som förbehandling vid genterapi hos Crigler-Najjars syndrom för patienter med antikroppar mot AAV

Lund, Sverige och Evry, Frankrike 27 april 2023. Hansa Biopharma AB, "Hansa" (Nasdaq Stockholm: HNSA), en pionjär inom enzymteknik för sällsynta immunologiska sjukdomar, och Genethon, en pionjär och ledare inom forskning och utveckling av genterapi för sällsynta genetiska sjukdomar, meddelade i dag att man inlett ett forsknings- och utvecklingssamarbete.

Samarbetet kommer att utvärdera säkerheten och effekten av Hansas antikroppsklyvande enzym imlifidase, som förbehandling inför administrering av Genethons genterapikandidat GNT-0003 för behandling av Crigler-Najjars syndrom hos patienter med neutraliserande antikroppar (NAbs) mot adeno-associerat virus serotyp 8 (AAV8). Patienter med cirkulerande NAbs exkluderas i dag från kliniska studier med potentiellt botande genterapibehandlingar och kan därför inte heller få tillgång till framtida godkända genterapier.

Søren Tulstrup, vd och koncernchef, Hansa Biopharma säger: "Genethon är en pionjär inom forskning och utveckling av genterapier för sällsynta sjukdomar och vi är glada över att samarbeta med dem. Detta forskningssamarbete bekräftar Hansas engagemang inom genterapi och understryker den viktiga roll som vår antikroppsklyvande enzymteknologi kan spela för att möjliggöra att ännu fler patienter kan dra nytta av livräddande genterapier."

GNT-0003 utvärderas för närvarande i en pivotal klinisk studie i Frankrike, Italien och Nederländerna och har fått PRIME-status (PRiority MEdicines) av EMA. Det samarbete som tillkännagavs i dag innebär att patienter med Crigler-Najjar och antikroppar mot AAV8 kommer att ingå i en studie med liknande utformning som den nu pågående studien. Imlifidase kommer att utvärderas som förbehandling för att ta bort AAV-antikropparna och möjliggöra genterapibehandling med GNT-0003. Resultatet från den pågående kliniska studien av GNT-0003 kan potentiellt utgöra grund för en ansökan om marknadsgodkännande i Europa (MAA) eller USA (BLA).

Crigler-Najjar är en genetisk sjukdom som orsakar ökade nivåer av bilirubin, vilket leder till irreversibla neurologiska skador med symptom som muskelsvaghet, trötthet, dövhet, intellektuell funktionsnedsättning och förlamning av ögonrörelser. Crigler-Najjar syndrom är en extremt sällsynt sjukdom som drabbar färre än en person per en miljon människor per år.¹

Frédéric Revah, CEO, Genethon tillägger: "Patienter med neutraliserande antikroppar mot AAV-vektorer kan i dag inte dra nytta av genterapi. Samarbetet med Hansa Biopharma är därför ett viktigt nästa steg i utvecklingen av vår genterapibehandling för Crigler-Najjars syndrom. Hansa Biopharmas beprövade enzymteknologi i kombination med dess vetenskapliga expertis kommer att hjälpa oss att föra den viktiga forskning vi bedriver inom Crigler-Najjar vidare vilket kan möjliggöra genterapibehandling för patienter som i dag exkluderas på grund av sin immunologiska status."

--- SLUT PÅ PRESSMEDDELANDET ---

Kontaktpersoner för mer information:

HANSA BIOPHARMA

Klaus Sindahl, *VP Head of Investor Relations*

M: +46 (0) 709 298 269

E: klaus.sindahl@hansabiopharma.com

Stephanie Kenney, *VP Global Corporate Affairs*

M: +1 (484) 319 2802

E: stephanie.kenney@hansabiopharma.com

GENETHON

Stephanie Bardon, *Media Relation AFM Telethon/Genethon*

M: +33 (6) 79341568

E: sbardon@AFM-telethon.fr

Bakgrundsinformation

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 positivt korstest mot en tillgänglig avliden donator. Imlifidase utvärderas sedan tidigare som en förbehandling före genterapi för tre indikationer: Duchennes muskeldystrofi och Limb-Girdle muskeldystrofi genom ett samarbetsavtal med Sarepta Therapeutics, samt Pompes sjukdom genom ett samarbetsavtal med AskBio.

Om Hansa Biopharma

Hansa Biopharma är ett banbrytande biofarmabolag i kommersiell fas som utvecklar innovativa, livräddande och livsförändrande behandlingar för patienter med sällsynta immunologiska sjukdomstillstånd. Hansa har utvecklat en världsledande enzymbehandling för klyvning av IgG-antikroppar (immunoglobulin) som ger högsensitiserade patienter möjlighet till njurtransplantation. Hansa har ett omfattande 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. Företaget är noterat på Nasdaq Stockholm under kortnamnet HNSA. Läs mer på www.hansabiopharma.com.

Om Genethon

Genethon är en pionjär inom upptäckt och utveckling av genterapier för sällsynta sjukdomar och är en unik ideell organisation som skapats av patientföreningen AFM-Telethon. Ett första läkemedel för genterapi, som Genethon bidragit till, har fått marknadsgodkännande för spinal muskelatrofi. Genethon har fler än 200 forskare och andra specialister som arbetar för att kunna erbjuda livsförändrande behandlingar till patienter som lider av sällsynta genetiska sjukdomar. För närvarande pågår kliniska prövningar av tretton produkter för lever-, blod-, immunförsvars-, muskel- och ögonsjukdomar som ett resultat av Genethons forskning. Ytterligare sex produkter befinner sig i förberedelsefasen inför kliniska prövningar under de kommande fem åren.

Läs mer på www.genethon.com

Om Crigler-Najjar syndrom

Crigler-Najjar syndrom är en sällsynt genetisk leversjukdom som kännetecknas av onormalt höga nivåer av bilirubin i blodet (hyperbilirubinemi). Denna ansamling av bilirubin orsakas av en brist på enzymet UGT1A1, som omvandlar bilirubin till en substans som kan elimineras av kroppen, och kan leda till betydande neurologiska skador och död om den inte behandlas snabbt. För närvarande måste patienterna genomgå fototerapi i upp till tolv timmar per dag för att hålla bilirubinnivåerna under toxicitetströskeln.

Referenser

1. <https://www.genethon.com/our-pipeline/crigler-najjar-syndrome/>