

PRESSMEDDELANDE

Hansa Biopharma tillkännager bekräftande resultat från behandling med imlifidase innan genterapibehandling för Duchennes muskeldystrofi

Lund, Sverige, 1 augusti 2025. Hansa Biopharma AB, "Hansa" (Nasdaq Stockholm: HNSA), tillkännagav idag topline-resultat från tre patienter med Duchennes muskeldystrofi (DMD) som behandlats med Hansas imlifidase innan de fick Sareptas genterapi ELEVIDYS (delandistrogen-moxeparvovek-rokl) i studien SRP-9001-104.

Efter en dos av imlifidase hade de tre patienterna en snabb minskning av IgG-antikroppar, till nivåer $\geq 95\%$ lägre än baslinjen. Dessutom minskade de redan existerande anti-AAV-antikropparna hos dessa tre patienter till en nivå under en titer av 1:400, vilket möjliggjorde behandling med ELEVIDYS. Säkerhetsprofilen för imlifidase var i enlighet med tidigare erfarenheter och studien genererade inga nya säkerhetssignaler. Tolv veckor efter genterapibehandlingen påvisade patienterna i studien en AAV-medierad transduktion och uttryck av mikrodystrofin, dock med nivåer lägre än vad som observerats i andra studier med ELEVIDYS. Baserat på dessa resultat kommer Hansa och Sarepta att diskutera nästa relevanta steg för programmet.

Renée Aguiar-Lucander, VD för Hansa Biopharma, säger: "Dessa är de första resultaten från en klinisk prövning där man utvärderar potentialen hos imlifidase för patienter med höga nivåer av anti-AAV-antikroppar att få tillgång till godkända genterapier. Vi är glada att imlifidase väsentligt kunde reducera såväl IgG-antikroppar som de specifika anti-AAV-antikropparna, för att möjliggöra för patienterna att behandlas med genterapi. Vi ser också fram emot att rapportera data från ett annat pågående samarbete kring genterapi senare i år, för att fortsätta samla belägg för de potentiella fördelarna med imlifidase inom genterapi".

Denna information är sådan som Hansa Biopharma AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2025-08-01 kl. 21:15 CEST.

--- SLUT PÅ PRESS-MEDDELANDET ---

Kontaktpersoner för mer information:

Evan Ballantyne, Chief Financial Officer
IR@hansabiopharma.com

Bakgrundsinformation

Om Duchennes muskeldystrofi (DMD)

DMD är en sällsynt och dödlig genetisk sjukdom som orsakas av en mutation i DMD-genen som kodar för proteinet dystrofin. Det är en irreversibel, progressiv sjukdom som gör att musklerna i kroppen undan för undan försvagas och skadas, vilket gör att de flesta patienter blir rullstolsburna vid tolv års ålder. För närvarande uppskattas DMD drabba en av 3 500 till 5 000 män som föds i världen.^{1,2} Cirka 14 procent av DMD-patienterna har redan befintliga IgG-antikroppar mot rh74-vektorn.³ Många genterapier baseras på användningen av AAV-vektorer (adenoassocierat virus). Hos vissa patienter bär immunsystemet på antikroppar, så kallade anti-AAV-antikroppar, som motverkar genterapibehandlingen och förhindrar att den lyckas.

Om SRP-9001-104

SRP-9001-104 är en öppen studie på ambulatoriska patienter av manligt kön med DMD i åldern fyra till nio år och med redan existerande antikroppar mot ELEVIDYS. Upp till sex patienter kommer att behandlas med imlifidase följt av ELEVIDYS. Alla patienter som ingår i studien är för närvarande inte lämpliga för behandling med ELEVIDYS på grund av förekomsten av antikroppar riktade mot AAVrh74, den vektor som används för att leverera ELEVIDYS.

Om imlifidase och gentterapi

Imlifidase utvärderas för närvarande som en förbehandling före gentterapi inom sjukdomsområden med stora medicinska behov. Majoriteten av alla gentterapi baseras på användning av AAV-vektorer (adenoassocierat virus).⁴⁻⁷ Många patienter har antikroppar som förhindrar gentterapi.⁵⁻¹¹ Förbehandling med imlifidase före AAV-baserad gentterapi kan inaktivera antikropparna och därmed möjliggöra gentterapi hos dessa patienter.¹⁰ För närvarande uppskattas att förekomst av AAV-antikroppar i genomsnitt hindrar så mycket som upp till en tredjedel av patienterna från att bli behandlade med gentterapi.⁵⁻¹¹

Om Hansa Biopharma

Hansa Biopharma AB är ett banbrytande biofarmabolag i kommersiell fas som utvecklar innovativa, livräddande och livsförändrande behandlingar för patienter med sällsynta immunologiska sjukdomstillstånd. Bolaget har ett omfattande och växande forsknings- och utvecklingsprogram baserat på dess egenutvecklade enzymteknologiplattform för IgG-klyvning. Målet är att tillgodose medicinska behov inom autoimmuna sjukdomar, gentterapi och transplantation. Bolagets portfölj omfattar imlifidase, en förstklassig enzymterapi som klyver immunoglobulin G (IgG)-antikroppar och som har visat sig möjliggöra njurtransplantation hos högsensitiserade patienter, samt HNSA-5487, en nästa generationens IgG-klyvande molekyler med potential för återdosering. 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 www.hansabiopharma.com och följ oss på [LinkedIn](#).

ELEVIDYS är ett varumärke som tillhör Sarepta Therapeutics Inc.

©2025 Hansa Biopharma AB. Hansa Biopharma, IDEFIRIX och deras respektive logotyper är varumärken som tillhör Hansa Biopharma AB, Lund, Sverige. Alla rättigheter förbehållna.

Referenser

1. Emery AE. *Neuromuscul Disord*. 1991;1(1):19-29. doi: 10.1016/0960-8966(91)90039-u. PMID: 1822774.
2. Stark AE. *Ann Transl Med*. 2015 Nov;3(19):287. doi: 10.3978/j.issn.2305-5839.2015.10.45. PMID: 26697447; PMCID: PMC4671860.
3. Goedecker NL, et al. Evaluation of rAAVrh74 gene therapy vector seroprevalence by measurement of total binding antibodies in patients with Duchenne muscular dystrophy. *Ther Adv Neurol Disord*. 2023 Jan 24;16:17562864221149781. doi: 10.1177/17562864221149781. PMID: 36710722; PMCID: PMC9880577.
4. Lundstrom K. Viral Vectors in Gene Therapy: Where Do We Stand in 2023? *Viruses*. 2023 Mar 7;15(3):698. doi: 10.3390/v15030698. PMID: 36992407; PMCID: PMC10059137.
5. Boutin S, et al. Prevalence of serum IgG and neutralizing factors against adeno-associated virus (AAV) types 1, 2, 5, 6, 8, and 9 in the healthy population: implications for gene therapy using AAV vectors. *Hum Gene Ther*. 2010 Jun;21(6):704-12. doi: 10.1089/hum.2009.182. PMID: 20095819.
6. Calcedo R, Wilson JM. Humoral Immune Response to AAV. *Front Immunol*. 2013 Oct 18;4:341. doi: 10.3389/fimmu.2013.00341. PMID: 24151496; PMCID: PMC3799231.
7. Veron P, Leborgne C, Monteilhet V, Boutin S, Martin S, Moullier P, Masurier C. Humoral and cellular capsid-specific immune responses to adeno-associated virus type 1 in randomized healthy donors. *J Immunol*. 2012 Jun 15;188(12):6418-24. doi: 10.4049/jimmunol.1200620. Epub 2012 May 16. PMID: 22593612.
8. Kruzik A, et al. Prevalence of Anti-Adeno-Associated Virus Immune Responses in International Cohorts of Healthy Donors. *Mol Ther Methods Clin Dev*. 2019 Jun 7;14:126-133. doi: 10.1016/j.omtm.2019.05.014. PMID: 31338384; PMCID: PMC6629972.
9. Falese L, et al. Strategy to detect pre-existing immunity to AAV gene therapy. *Gene Ther*. 2017 Dec;24(12):768-778. doi: 10.1038/gt.2017.95. Epub 2017 Nov 6. PMID: 29106404; PMCID: PMC5746592.
10. Leborgne C, et al. IgG-cleaving endopeptidase enables in vivo gene therapy in the presence of anti-AAV neutralizing antibodies. *Nat Med*. 2020 Jul;26(7):1096-1101. doi: 10.1038/s41591-020-0911-7. Epub 2020 Jun 1. PMID: 32483358.
11. Au H.K, et al. (2022) Gene Therapy Advances: A Meta-Analysis of AAV Usage in Clinical Settings. *Front. Med*. 8:809118. doi: 10.3389/fmed.2021.809118