Pressmeddelande
19 november 2026 09:00:00 CET

MEDIVIR

FDA beviljar Medivirs MIV-711 Rare Pediatric Disease Designation vid Osteogenesis Imperfecta

Stockholm — Medivir AB (Nasdaq Stockholm: MVIR), ett läkemedelsföretag som fokuserar på att utveckla innovativa behandlingar inom områden med stora ouppfyllda medicinska behov, meddelade i dag att amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har beviljat bolagets selektiva cathepsin K-hämmare MIV-711 Rare Pediatric Disease Designation (RPDD) för behandling av Osteogenesis Imperfecta (OI). MIV-711 har sedan tidigare särläkemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) vid OI samt särläkemedelsstatus och RPDD vid Perthes sjukdom. Beslutet stärker MIV-711 inför den planerade proof-of-concept-studien vid OI och vid ett framtida godkännande kan MIV-711 dessutom berättiga till en Priority Review Voucher – en överlåtbar tillgång som under 2026 har sålts för 180–210 miljoner USD per voucher.

MIV-711 angriper själva benskörheten
MIV-711 hämmar cathepsin K, det huvudsakliga enzym som osteoklasterna använder för att bryta ned kollagen i benvävnaden. Genom att dämpa den överdrivna bennedbrytningen syftar MIV-711 till att återställa balansen mellan nedbrytning och nybildning av ben och därmed förebygga frakturer och skelettdeformiteter.

För RPDD kräver FDA en vetenskaplig grund och stödjande data som tyder på att läkemedlet kan vara effektivt vid sjukdomen. I en OI-specifik djurmodell har MIV-711 visat signifikant och dosberoende förbättring av benstyrka, benkvalitet och benmorfologi, och kliniska data inom artros stödjer att MIV-711 motverkar bennedbrytning hos människa. I sitt beslut konstaterar FDA att OI uppfyller kriterierna för en sällsynt pediatrisk sjukdom och hänvisar bland annat till uttalad benskörhet med ökad frakturbenägenhet, skelettdeformiteter, andningskomplikationer, smärta och kortväxthet.

Det finns i dag ingen godkänd behandling som angriper den underliggande benskörheten vid Osteogenesis Imperfecta, och Medivir bedömer marknadspotentialen för en sådan behandling till minst 2,5 miljarder USD.

Priority Review Voucher – en potentiellt värdefull tillgång
Med RPDD kan FDA tilldela Medivir en Priority Review Voucher (PRV) vid ett marknadsgodkännande av MIV-711 för OI. Vouchern ger prioriterad granskning av en senare marknadsföringsansökan och kan säljas vidare till andra bolag. De transaktioner som genomförts under 2026 har skett till mellan 180 och 210 miljoner USD per voucher. PRV-programmet har förlängts flera gånger sedan det infördes 2012, senast i februari 2026, och gäller i nuläget till och med den 30 september 2029.

- *”Att FDA nu beviljar RPDD vid Osteogenesis Imperfecta bekräftar både det stora medicinska behovet och den vetenskapliga grunden för MIV-711. Barn med OI lever med återkommande frakturer, skelettdeformiteter och kronisk smärta, och det finns fortfarande ingen godkänd behandling som angriper själva benskörheten. Vi tror att MIV-711 har potential att bli den*

första. Med särläkemedelsstatus och RPDD vid både OI och Perthes sjukdom, en färdig studiedesign och säkrad finansiering står MIV-711 väl rustat inför nästa utvecklingsfas. Nu ligger fokus på att starta proof-of-concept-studien och visa vad MIV-711 kan betyda för patienterna", säger Jens Lindberg, VD för Medivir.

För ytterligare information, kontakta:
Jens Lindberg, VD, Medivir AB
Telefon: +46 8 5468 3100
E-post: jens.lindberg@medivir.com

Om MIV-711
MIV-711 är en potent och selektiv hämmare av cathepsin K, det huvudsakliga proteaset som är involverat i att bryta ner kollagen i ben och brosk. Det har visat sig bromsa, stoppa eller vända den progressiva degenerationen av leder som påverkas av artros. Genom att hämma cathepsin K och ökad/överdriven aktivitet av osteoklaster har MIV-711 potential att motverka den överdrivna bennedbrytning som ses hos patienter med Osteogenesis Imperfecta (medfödd benskörhet). MIV-711 återställer balansen mellan nedbrytningen av ben med muterat kollagen och bildning av nytt ben med syfte att förhindra frakturer och bendeformiteter.

Om Osteogensis Imperfecta
Osteogenesis imperfecta (OI), även kallad medfödd benskörhet, är en sällsynt och ärftlig sjukdom som kännetecknas av sköra ben med hög benägenhet för frakturer. Sjukdomen orsakas av olika genetiska mutationer, vilket påverkar benmatrixens struktur eller produktion. Svårighetsgraden varierar från milda till mycket allvarliga former. De mest allvarliga fallen kan innebära upprepade frakturer, felställningar i skelettet, smärta och kortväxthet, och i den svåraste formen överlever barnen inte spädbarnstiden. Globalt beräknas cirka 500 000 personer vara drabbade, varav omkring 135 000 är barn. OI kräver ofta livslång behandling, med målet att förbättra livskvaliteten och minska risken för frakturer.

Om Medivir
Medivir utvecklar innovativa terapier med fokus på områden med stort ouppfyllt medicinskt behov. Bolagets läkemedelskandidater inriktas på indikationer där nuvarande behandlingsalternativ är begränsade eller obefintliga, vilket ger möjlighet att åstadkomma verklig skillnad för patienterna. Medivirs två ledande program är fostrox, en leverriktad kemoterapi som är utformad för att selektivt rikta in sig på levercancerceller och samtidigt minimera biverkningarna, och MIV-711, som syftar till behandling av Osteogenesis Imperfecta (medfödd benskörhet) och Legg-Calvé-Perthes sjukdom (Perthes sjukdom). Båda kandidaterna har blockbusterpotential och representerar betydande möjligheter till värdeskapande för Medivirs aktieägare. Samarbeten spelar en nyckelroll i Medivirs affärsmodell, där läkemedelsutveckling sker antingen i egen regi eller i partnerskap. Medivir (Nasdaq Stockholm: MVIR) är noterad på Nasdaq Stockholms lista för små bolag. Mer information finns på www.medivir.se