

FDA beviljar Medivirs MIV-711 Orphan Drug Designation för behandling av Osteogenesis Imperfecta

Stockholm — Medivir AB (Nasdaq Stockholm: MVIR), ett läkemedelsföretag inriktat på att utveckla innovativa behandlingar av cancersjukdomar med stora medicinska behov, meddelade idag att bolagets selektiva cathepsin K-hämmare, MIV-711, har beviljats Särsläkemedelsstatus (Orphan Drug Designation; ODD) från FDA för behandling av Osteogenesis Imperfecta (OI).

FDA beviljar särsläkemedelsstatus för läkemedel som är tänkta att behandla sällsynta sjukdomar som förekommer hos färre än 200 000 personer i USA. Särsläkemedelsstatus möjliggör en rad fördelar under läkemedelsutveckling, bland annat skattelättnader för kliniska studier utförda i USA, befrielse från avgifter vid ansökan om marknadsföringsgodkännande samt möjlighet till sju års marknadsexklusivitet efter godkännande.

- "OI är en sällsynt genetisk sjukdom som påverkar kroppens förmåga att producera normalt kollagen typ 1 och leder till benskorhet, vilket i sin tur orsakar skelettdeformitet och frekventa frakturer, ofta i frånvaro av trauma. Det finns ett flertal subtyper av OI med varierande svårighetsgrad, från mild till mycket allvarlig påverkan och vid den svåraste formen av sjukdomen överlever barnen inte spädbarnstiden. Det finns ett betydande medicinskt behov då det idag saknas godkända behandlingsalternativ för patienter diagnostiserade med OI. Vi är mycket glada att FDA har beviljat särsläkemedelsstatus för MIV-711, vilket bidrar till den samlade evidensen för MIV-711's förmåga att positivt påverka benremodellering och dess potential för att behandla benrelaterade sjukdomar", säger Medivirs VD Jens Lindberg.

För att särsläkemedelsstatus ska erhållas måste det finnas underliggande data som stödjer att läkemedlet kan vara effektivt mot sjukdomen. MIV-711 har i en OI-specifik djurmodell med en genetisk mutation i typ 1 kollagen visat signifikant och dosberoende påverkan på benstyrka och kvalitet samt benmorfologi, vilket stödjer den potentiella nyttan för behandling av patienter med OI. På liknande sätt har kliniska studier visat att MIV-711 förhindrar bennedbrytning hos patienter med osteoartros, vilket ytterligare stödjer den potentiella kliniska nyttan vid OI.

Cathepsin K är det huvudsakliga enzymet med vilket osteoklaster, som är involverade i benresorption och brosknedbrytning, klyver kollagen i benmatrix. Genom att hämma cathepsin K skyddas det OI påverkade benet från överdriven benresorption och benbildning främjas. Detta motverkar de viktigaste mekanismerna som orsakar patologiska förändringar vid OI, med potential att minimera långsiktiga negativa effekter.

För ytterligare information kontakta:

Magnus Christensen,

Finanschef

Medivir AB

Telefon: 08 5468 3100

E-mail: Magnus.Christensen@medivir.com

Om Osteogenesis Imperfecta

Osteogenesis imperfecta (OI) kallas också medfödd benskörhet. OI är en sällsynt och ärftlig sjukdom som karakteriseras av sköra ben som bryts lätt. Sjukdomen kan orsakas av flera specifika genetiska mutationer, men företrädesvis mutationer i kollagen typ 1 genen, som påverkar strukturen eller produktionen av benmatrix. Mutationer av kollagen typ 1, som är central för benets struktur och styrka, ger framförallt en påverkan på skelettet och leder till en ökad frekvens av frakturer. Sjukdomens svårighetsgrad varierar från mild till mycket allvarlig. Svåra former leder till upprepade frakturer, felställningar i skelettet, smärta och kortväxthet. Vid den svåraste formen av sjukdomen överlever barnen inte spädbarnstiden. OI är en sjukdom med behov av livslång behandling som kan förbättra livskvalitet och minska risken för benfrakturer.

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 OI. MIV-711 återställer balansen mellan nedbrytningen av ben med muterat kollagen och bildning av nytt ben med syfte att förhindra frakturer och bendeformiteter.

Om Medivir

Medivir utvecklar innovativa läkemedel med fokus på cancersjukdomar där de medicinska behoven är stora. Läkemedelskandidaterna riktar mot indikationsområden där tillgängliga behandlingsmetoder är begränsade eller saknas och det finns stora möjligheter att erbjuda betydande förbättringar till patienterna. Medivir fokuserar på utvecklingen av fostroxacitabine bralpamide (fostrox), en läkemedelskandidat som har utformats för att selektivt behandla cancerceller i levern samtidigt som eventuella biverkningar minimeras. Samarbeten och partnerskap är viktiga delar av Medivirs affärsmodell och läkemedelsutvecklingen bedrivs antingen i egen regi eller i partnerskap. Medivirs aktie (ticker: MVIR) är noterad på Nasdaq Stockholms lista för små bolag (Small Cap). www.medivir.se.