

Konstantynów Łódzki, 08 lutego 2023 roku

Informacja prasowa

Mabion uzyskał od FDA status ODD dla leku MabionCD20 we wskazaniu autoimmunologicznej anemii hemolitycznej

- > Status leku sierociego jest przyznawany przez FDA lekom mającym zapobiegać oraz leczyć choroby rzadkie, zapewnia spółkom biotechnologicznym szereg zachęt wspierających rozwój diagnostyki i terapii
- > Posiadanie statusu leku sierociego pozwala na zwolnienie z części opłat do FDA, w tym opłat związanych z rejestracją leku, gwarantuje 7 lat wyłączności rynkowej po uzyskaniu rejestracji i uprawnia do ulg podatkowych przy przeprowadzaniu fazy badań klinicznych
- > Uzyskanie statusów ODD (ang. Orphan Drug Designation), czyli desygnacji jako leku sierociego łącznie już w 2 wskazaniach skutecznie buduje wartość projektu MabionCD20
- > Spółka w 1H 2023, po ukończeniu analiz strategicznych, podejmie decyzję co do dalszego rozwoju MabionCD20, w tym ewentualnego określenia ścieżek i harmonogramów badań niezbędnych do rejestracji leku
- > MabionCD20 jest drugim związkiem w historii typu rituximab, który uzyskał status ODD we wskazaniu autoimmunologicznej anemii hemolitycznej (AIHA)
- > Autoimmunologiczna anemia hemolityczna (AIHA) prowadzi do skrócenia czasu życia krwinek z około 120 do - w najcięższych przypadkach - zaledwie kilku dni
- > MabionCD20 jest przeciwciałem monoklonalnym, lekiem biopodobnym do MabThera/Rituxan (rituximab), a jego mechanizm działania powoduje, że jest wykorzystywany w wielu wskazaniach terapeutycznych, w tym licznych chorobach rzadkich i autoimmunologicznych, co jednocześnie zwiększa atrakcyjność tego leku dla firm farmaceutycznych

„Po uzyskaniu w styczniu br. statusu ODD dla leku MabionCD20 we wskazaniu nefropatii błoniastej, informujemy o kolejnej pozytywnej dla spółki decyzji FDA, przyznającej nam status ODD we wskazaniu autoimmunologicznej anemii hemolitycznej. Zwracam uwagę na fakt, że MabionCD20 jest historycznie dopiero drugim związkiem typu rituximab, który uzyskał ten status we wskazaniu AIHA. Ewentualne procedowanie projektu w tym wskazaniu w trybie zarezerwowanym dla leków sierocych wiąże się z możliwością uzyskania szeregu korzyści na poziomie kosztowym oraz biznesowym. Są to przede wszystkim zwolnienia z części opłat do FDA, w tym opłat związanych z rejestracją leku i uprawnienia do ulg podatkowych przy przeprowadzaniu fazy badań klinicznych na terenie USA. Decyzję co do dalszego rozwoju MabionCD20 podejmiemy w 1H 2023 i to od niej uzależnione będą kolejne potencjalne ścieżki rozwoju tego projektu” – **wyjaśnia Sławomir Jaros, Członek Zarządu Mabion S.A. ds. Operacyjnych i Naukowych.**

Procedura desygnacji leku sierociego tzw. Orphan Drug Designation (ODD) została ustanowiona przez FDA w celu wsparcia rozwoju leków i terapii mających zapobiegać oraz leczyć choroby rzadkie. W przypadku autoimmunologicznej anemii hemolitycznej (AIHA) roczna zapadalność jest oceniana na 0,8 do 2,4 przypadków na 100 tys. mieszkańców, w Stanach Zjednoczonych szacuje się, że około 60 tys. ludzi cierpi na tę chorobę. Dzięki nadaniu statusu leku sierociego, firmy mogą uzyskać kilka benefitów, do najbardziej istotnych zaliczane są ulgi podatkowe przy przeprowadzaniu fazy badań klinicznych, zwolnienie z opłat związanych z konsultacjami z FDA oraz 7 lat wyłączności rynkowej w momencie zatwierdzenia leku przez FDA. Przyznanie statusu ODD dla Mabion może potencjalnie przyspieszyć rozwój produktu MabionCD20 jako leku biologicznego na autoimmunologiczną chorobę hemolityczną.

„Status leku sierocego uzyskany przez MabionCD20 już w dwóch wskazaniach zwiększa atrakcyjność projektu według kilku analizowanych przez nas scenariuszy. W chwili zamknięcia prac nad długoterminową strategią rozwoju Spółki, będziemy w stanie precyzyjnie określić możliwe ścieżki dla projektu MabionCD20” – **dodaje Adam Pietruszkiewicz, Członek Zarządu Mabion S.A. ds. Sprzedaży.**

Autoimmunologiczna anemia hemolityczna (AIHA) jest ciężkim schorzeniem autoimmunologicznym, w którym przeciwciała pacjenta atakują jego własne erytrocyty (czerwone krwinki), powodując ich rozpad i w rezultacie obniżenie zdolności krwi do transportowania tlenu. Czas życia krwinek, który normalnie wynosi około 120 dni, może zostać skrócony w najcięższych przypadkach do zaledwie kilku dni. Typowe symptomy tej choroby to: gorączka, bledność, zmęczenie, osłabienie mięśni, podwyższone tętno i duszności. AIHA może nawet powodować zagrażające życiu stany, takie jak zakrzepica żył czy ostra niewydolność nerek. Ostatnie badania wskazują na wysoką efektywność rituximabu w leczeniu AIHA. Dlatego od niedawna jest on rekomendowany przez stowarzyszenia medyczne jako terapia drugiego rzutu, do stosowania w razie braku skuteczności standardowych immunosupresantów lub pojawienia się ciężkich skutków ubocznych. W terapii AIHA, a dokładnie w - chorobie zimnych aglutynin jednej z dwóch głównych odmian AIHA, dotychczas został zarejestrowany tylko jeden lek. W 2022 r. FDA zaakceptowała sutimlimab - przeciwciało monoklonalne, dla którego koszt rocznej terapii szacowany jest nawet na 280 000 USD. Sutimlimab może być używany wyłącznie w małej populacji pacjentów z AIHA (10-15%) i cechuje go inny mechanizm działania niż rituximab.

Kontakt dla mediów i inwestorów indywidualnych

Michał Wierzchowski

+48 531 613 067

+48 22 440 14 40

michal.wierzchowski@ccgroup.pl

Mardoniusz Maćkowiak

+48 605 959 539

+48 22 440 14 40

mardoniusz.mackowiak@ccgroup.pl

Kontakt dla inwestorów instytucjonalnych i analityków

Piotr Owdziej

+48 697 612 913

+48 22 440 14 40

piotr.owdziej@ccgroup.pl

Katarzyna Mucha

+48 697 613 712

+48 22 440 14 40

katarzyna.mucha@ccgroup.pl

Informacje na temat Mabion S.A.

Mabion S.A. (GPW: MAB) jest w pełni zintegrowaną polską firmą biofarmaceutyczną założoną w 2007 roku, której głównym obszarem działania jest opracowywanie i rozwój leków najnowszej generacji opartych na technologii białek rekombinowanych (np. przeciwciał monoklonalnych). Kompetencje Mabion obejmują zarówno fazę projektowania leku, jak i dobór technologii ekspresji białek, ich oczyszczania, działania produkcyjne w standardzie GMP (uzyskiwanie Substancji Czynnych „Drug Substance” oraz Produktów Gotowych „Drug Product”), rozwój narzędzi analitycznych (do charakterystyki strukturalnej, funkcjonalnej, fizykochemicznej), rozwój kliniczny, analitykę kliniczną oraz pełen zakres działań regulacyjnych w obszarze rozwojowym i operacyjnym. Najbardziej zaawansowany projekt spółki to MabionCD20, lek biopodobny do MabThera (rituximab) ze wskazaniami terapeutycznymi dla chłoniaków nieziarniczych, białaczek i reumatoidalnego zapalenia stawów (RZS). Ponadto, od momentu podpisania w październiku 2021 roku kontraktu z Novavax na komercyjne wytwarzanie szczepionki na COVID-19 Mabion rozwija i rozszerza swoją istniejącą platformę o działalność w zakresie CDMO, tj. usługi kontraktowego rozwoju, produkcji GMP oraz usług analitycznych GMP/GLP w pełnym zakresie ww. możliwości. Mabion jest spółką publiczną, notowaną na Giełdzie Papierów Wartościowych w Warszawie. Więcej informacji o Spółce na stronie internetowej www.mabion.eu