



## **Behandling för patienter med sällsynt, fruktad sjukdom**

(Stockholm, 3 augusti, 2001) — TKT Europe-5S AB meddelar idag att Replagal™ (agalsidas alfa) har blivit godkänt för marknadsföring inom EU för långsiktig enzymsättningsbehandling hos patienter med bekräftad diagnos av Fabrys sjukdom. Replagal är den första produkten som blivit godkänt som särsläkemedel i Europa.

“Patienter som drabbats av Fabrys Sjukdom har väntat en lång tid på en behandling som fungerar och jag är övertygad om att Replagal erbjuder en kliniskt effektiv behandling,” säger professor Michael Beck, vid universitetssjukhuset i Mainz, Tyskland, en av de ledande experterna i Europa på Fabrys sjukdom. ”Det enkla handhavandet av denna produkt, tillsammans med dess effekt- och säkerhetsprofil, gör att Replagal är ett viktigt framsteg för behandlingen av Fabrys sjukdom.”

Fabrys sjukdom är en sällsynt, ärftlig sjukdom som leder till förkortad livslängd för drabbade män (i genomsnitt i fyrtioårsåldern) på grund av komplikationer från njurar, hjärta eller kärlsystemet. I barndomen får patienterna extrem smärta och utvecklar typiska hudförändringar (angiokeratom). Senare i livet utvecklas njursjukdom, som ofta övergår till njursvikt, samt hjärtsjukdom och stroke. Kvinnor har som regel ett mindre allvarligt kliniskt förlopp och prognos. De kan dock även få symptom som är lika kraftigt uttalade som hos män.

Sjukdomen är orsakad av bristfällig aktivitet av enzymet alfa-galaktosidas A. Detta leder till en inlagring av en speciell fettsubstans, globotriaosylceramide (Gb3), i känsliga organ och celler, speciellt i njure, hjärta, nervsystem och blodkärl.

Replagal (agalsidas alfa) är en alfa-galactosidas A enzymsättningsbehandling för långsiktig behandling av Fabrys sjukdom. Behandlingen har godkänts baserat på 6 månaders data från två kliniska studier med resultat från 12-18 månaders behandling. Studierna, varav en nyligen publicerades, visar att behandling med Replagal ger signifikant minskning av den extrema smärtan från sjukdomen, och även en minskning av behovet av kroniska smärtstillande medel. Njurfunktionen stabiliseras och fortsätter att förbättras, hjärtstorleken minskar och justering sker av de abnorma nivåerna av glycosphingolipid som förekommer vid denna sjukdom. Replagal är den enda produkten som visat så omfattande förbättringar i det kliniska förloppet av sjukdomen. Det var få biverkningar från behandlingen.

Produkten ges som en kort infusion varannan vecka och i många fall ges behandlingen till patienten i hemmet.

Bo Ahlstrand, chef för TKT Europe–5S AB säger: ”Säkerheten, effektiviteten och enkelheten att använda Replagal kommer att bli viktiga faktorer för patienter och läkare, när de ska välja behandling för Fabry sjukdom. Vi har förberett oss för godkännandet av Replagal i Europa alltsedan vårt företag startade i Europa för mer än ett år sedan. Fördelarna med Replagal, tillsammans med våra engagerade och erfarna medarbetare ger oss tillförsikt om framgång för denna banbrytande produkt i Europa.”

## **Bakgrundsinformation**

### **Om Replagal**

Replagal är ett humant alfa-galaktosidas A producerat genom en kontinuerlig human cellinje. Patienterna får 0,2 mg/kg kroppsvikt varannan vecka i en 40 minuters intravenös infusion. Den korta infusionstiden och avsaknaden av biverkningar gör att många patienter kan få sin behandling i hemmet.

### **Om företaget**

TKT Europe – 5S AB är ett europeiskt läkemedelsföretag inriktat på att arbeta med läkemedel mot sällsynta genetiska sjukdomar över hela Europa. Företaget är baserat i Stockholm och är representerat i de flesta europeiska länder.

TKT Europe – 5S AB har ett nära samarbete med Transkaryotic Therapies Inc., i Cambridge, Massachusetts, USA. Transkaryotic Therapies, Inc. (TKT) är ett ledande biofarmaceutiskt företag som utvecklar och kommersialiserar produkter baserade på företagets tre patenterade utvecklingsplattformar: Gene Activated™ proteins, Niche Protein™ products och Gene Therapy.

TKT:s produktplattform Niche Protein bygger på proteinersättning för behandling av sällsynta genetiska sjukdomar som Fabry sjukdom, Hunter sjukdom och Gaucher sjukdom, en grupp av sjukdomar som kännetecknas av frånvaron av vissa metaboliska enzymer. Gene Activated proteins är en patenterad metod för storskalig produktion av proteiner för läkemedelsbehandling, som inte kräver att gener klonas och infogas i icke-humana cellinjer. Företagets genterapi-teknologi, kallad Transkaryotic Therapy, är inriktad mot utvecklingen av icke-virala *ex-vivo* genterapi-produkter för långtidsbehandling av kroniska proteinbristtillstånd.

För ytterligare information, kontakta:

Jacob Kaluski, chef Pharmaceutical Affairs, TKT Europe – 5S AB, tel. 070-3000 392

Bo Ahlstrand, chef TKT Europe – 5S AB, tel. 070-3200 113