



---

**ORPHAZYME ANNONCE LE RAPPORT INTERMÉDIAIRE DU PREMIER SEMESTRE 2019**

---

Copenhague, Danemark, le 28 août 2019 –

Orphazyme A / S (symbole: ORPHA.CO), société biopharmaceutique dédiée au développement de traitements pour les patients atteints de maladies rares, annonce aujourd'hui ses résultats financiers intérimaires pour la période allant du 1er janvier au 30 juin 2019 et faits saillants de l'entreprise.

« Nous avons réalisé des progrès substantiels au cours du premier semestre de 2019. Nous avons confirmé notre stratégie de dépôt d'arimoclomol pour la maladie de Niemann-Pick de type C (NPC) auprès des régulateurs européens et, plus récemment, des États-Unis qui introduira un programme d'accès anticipé pour les NP-C à l'automne. Nous sommes sur la bonne voie pour déposer notre première autorisation de mise en marché au cours du premier semestre 2020 et poursuivre nos préparatifs en vue du lancement d'arimoclomol sur des marchés clés. Arimoclomol est également en cours de développement clinique dans trois autres indications de très grands besoins non satisfaits: la sclérose latérale amyotrophique (SLA), la myosite sporadique à corps d'inclusion (SIBM) et la maladie de Gaucher. Nous avons été particulièrement satisfaits du vif intérêt que suscite notre essai de phase 3 sur la SLA, qui est maintenant complètement inscrit avant la date prévue. Cela signifie que les deux essais d'enregistrement potentiels dans la SLA et le SIBM sont maintenant terminés et que nous attendons avec impatience les résultats des essais au cours du premier semestre 2021. En outre, nous avons achevé le recrutement dans notre essai de phase 2 sur la maladie de Gaucher et les résultats seront disponibles pour le premier semestre 2020 », a déclaré Anders Hinsby, directeur général d'Orphazyme.

Anders Hinsby a poursuivi: «Comme annoncé précédemment, je transmettrai le poste de directeur général d'Orphazyme à Kim Stratton le 1er octobre 2019. Le changement de direction permettra à la transformation opportune de la société de pouvoir rendre disponible le arimoclomol aux patients après une approbation. Ce fut un grand privilège de travailler en collaboration avec des scientifiques talentueux, des cliniciens dévoués et surtout des organisations de patients épataantes. Avec toute notre équipe chez Orphazyme, j'ai toujours été alimenté par ces collaborations étroites et la lourde tâche qui consiste à faire correspondre le courage, l'engagement et la persévérance de nos collaborateurs proches. »

#### **Faits marquants du premier semestre 2019 et événements postérieurs**

- Le critère d'évaluation principal de l'essai pivot avec arimoclomol pour le NP-C a montré une réduction de 74% de la progression de la maladie après 12 mois, tandis que les sous-groupes ont montré une efficacité statistiquement significative. Dépôt prévu de la soumission de



déclarations de S1 2020 en Europe et aux États-Unis, à la suite de réunions positives avec les autorités de réglementation

- Essai de phase 3 en cours sur l'arimoclomol pour le traitement de la SLA; fin des inscriptions en juillet 2019. Les résultats Topline de l'analyse complète sont en bonne voie pour le premier semestre 2021
- Essai de phase 2/3 avec arimoclomol pour le SIBM en cours; fin des inscriptions en avril 2019. Résultats de l'essai complet attendus S1 2021 (analyse intermédiaire attendue S1 2020)
- Inscription de l'essai de phase 2 sur la maladie de Gaucher achevée en août 2019; résultats attendus au premier semestre 2020
- Plusieurs pistes pour de nouvelles entités moléculaires pouvant constituer de nouvelles opportunités en matière de propriété intellectuelle
- Kim Stratton Nommé au poste de directeur général, succédant à Anders Hinsby, à compter du 1er octobre 2019.
- Introduction d'un nouveau programme d'incitation pour les membres du conseil, basé sur des actions et d'un nouveau programme d'actions fantômes en juillet 2019.
- Bilan renforcé en août 2019 avec un financement de 9 millions d'EUR de Kreos Capital

#### Résultats financiers du premier semestre 2019

- Pour les six premiers mois de 2019, Orphazyme a enregistré une perte nette de 164 MDKK ou 8,21 DKK par action (de base et diluée) par rapport à une perte nette de 108 MDKK ou de 5,41 DKK par action (de base et diluée) pour la même période en 2018
- Les frais de recherche et développement pour la période s'élèvent à 142 MDKK par rapport à 94 MDKK pour la même période en 2018
- Les frais généraux et administratifs pour la période s'élèvent à 23 MDKK par rapport à 15 MDKK pour la même période en 2018
- Au 30 juin 2019, Orphazyme détenait des liquidités pour un total de 226 MDKK par rapport à 513 MDKK au 30 juin 2018 et à 395 MDKK au 31 décembre 2018.

#### Perspective

Orphazyme maintient les perspectives de perte d'exploitation pour 2019 comprises entre 315 et 345 millions de DKK et que la position de trésorerie attendue à la fin de l'exercice 2019 soit supérieure à > 110 millions de DKK, telles que publiées dans le rapport annuel 2018 du 1er mars 2019.



Cliquez ici pour lire le rapport complet.

### **Conférence téléphonique**

Orphazyme organisera une conférence téléphonique à l'intention des investisseurs lors de laquelle le chef de la direction, Anders Hinsby, et le directeur financier, Anders Vadsholt, présenteront le rapport intermédiaire au premier semestre 2019. La présentation sera suivie d'une session de questions / réponses.

L'appel aura lieu le mercredi 28 août 2019 à 11h00 HAEC / 5h00 HAE.

Détails de connexion:

- Danemark: +45 32 72 80 42
- Royaume-Uni: +44 (0) 844 571 88 92
- États-Unis: +1 6315 107 495

Titre de l'événement: Rapport intermédiaire sur Orphazyme, premier semestre 2019

Code de confirmation: 8655918

La présentation sera également disponible via la diffusion Web:  
<https://edge.media-server.com/mmc/p/v2haoix5>

Après l'appel, la présentation sera disponible via le lien de diffusion Web ci-dessus.