



## Bedrijfsoverzicht

### Beleggersinfo

AMT werd opgericht in 1998 en is sinds 2007 genoteerd op de NYSE Euronext Amsterdam Exchange (Euronext: AMT; ISIN Code: NL 0000 88 6968).

### Management

**Jörn Aldag** Chief Executive Officer  
**Piers Morgan** Chief Financial Officer  
**Carlos Camozzi** VP, Chief Medical Officer  
**Harald Petry** VP, Research & Development  
**Hans Preusting** VP, Business Development & Operations

### Investor Contact

**Jörn Aldag** +31 20 566 7394  
 j.aldag@ambtbiopharma.com

### Media Contact

**Mike Sinclair** +44 20 7318 2955  
 msinclair@halsin.com

**Hans Herklots** +41 79 598 7149  
 (Dutch Press) capicorn1@bluewin.ch

### Bedrijf

Amsterdam Molecular Therapeutics is wereldleider op het gebied van de ontwikkeling van genterapieën. Ons eerste product Glybera® (alipogene tiparvovec), is een genterapie voor de behandeling van lipoproteïne lipase-deficiëntie (LPLD), een erfelijke weesziekte. Dit product is in afwachting van een handelsvergunning in Europa. AMT heeft ook een pijplijn met genterapieproducten die in ontwikkeling zijn voor: hemofilie B, de ziekte van Duchenne, acute intermitterende porfyrie, SanfilippoB en de ziekte van Parkinson. AMT is gevestigd op het terrein van het Academisch Medisch Centrum van de Universiteit van Amsterdam en heeft ongeveer 80 medewerkers, die uitgebreide wetenschappelijke ervaring binnen de industrie hebben en die in staat zijn om producten die aan de cGMP-norm voldoen te produceren op commerciële schaal.

### Mogelijkheden genterapie

Voor vele ernstige ziekten, waaronder de erfelijke ziekten, is er op dit moment geen definitieve oplossing of genezing beschikbaar, die de onderliggende oorzaak van het probleem aanpakt. De bestaande therapieën bieden hoogstens symptoomverlichting.

Erfelijke ziekten worden veroorzaakt door een genmutatie, die leidt tot verlies van goede celfunctie. Veel erfelijke ziekten zijn zeldzaam, invaliderend en er is in het algemeen geen effectieve therapie voor; dergelijke ziekten worden 'weesziekten' genoemd. Via genterapie brengt men een goedwerkend versie van het gen in de celkernen van de patiënt, zodat de cellen hun juiste functie terugkrijgen. Naast de behandeling van erfelijke ziekten kan genterapie toegepast worden op andere ziekten, zoals cardiovasculaire, lever- en zenuwstelselaandoeningen, waarbij het afleveren van een therapeutisch gen een significant voordeel kan opleveren voor de patiënten.

### Eerste product

De aanvraag tot handelsvergunning voor Glybera® is momenteel in behandeling in Europa. Het product is ontwikkeld om LPLD, een erfelijke weesziekte waar nog geen geneesmiddel voor bestaat, te behandelen. De ziekte wordt veroorzaakt door mutaties in het LPL-gen, die resulteren in een ernstig verminderde of volledige afwezigheid van de functionaliteit van het LPL-eiwit in patiënten. LPL-eiwit is nodig om grote vetdeeltjes, die na iedere maaltijd in het bloed circuleren, af te breken. Wanneer dergelijke deeltjes, chylomicronen genaamd, zich ophopen in het bloed, kunnen deze haarvaten blokkeren. Dit kan resulteren in ernstige acute ontsteking van de alvleesklier. Dit wordt pancreatitis genoemd en is de ernstigste complicatie van de ziekte. Bij LPLD lijden de patiënten vaak aan herhaaldelijke pancreatitisaanvallen. Glybera® is in de EU en de VS aangewezen als weesgeneesmiddel.



## Pijplijn

Program	Organ	Orphan designation	Discovery	Preclinical	Phase I/II	Phase II/III	Filed	Marketed
Glybera® Europe	Muscle	EU/US						Pending EU Approval
Glybera® US & Canada	Muscle	EU/US						
Glybera® HLP5	Muscle	EU/US						
Duchenne Muscular Dystrophy	Muscle	EU/US						
Hemophilia B	Liver	-/-						
Acute Intermittent Porphyria	Liver	EU/-						
Parkinson's Disease	CNS	NA						
Sanfilippo (Institut Pasteur program)	CNS	-/-						

### Strategie

Het doel van AMT is om een gespecialiseerd biofarmaceutisch bedrijf te worden, dat toonaangevend is in de ontwikkeling van gentherapieën voor ziekten met een nog onvervulde medische behoefte en om deze onafhankelijk of samen met partners op de markt te brengen.

Wij richten onze programma's op weesziekten, of op ziekten die een substantiële markt vertegenwoordigen maar waar bestaande producten alleen een suboptimale oplossing bieden.

Om inkomsten en niet-dilutieve financiering te genereren sluit AMT in een vroeg stadium overeenkomsten voor producten die geschikt zijn om samen met partners te ontwikkelen. Hieronder bevinden zich gentherapieën die de dynamiek van bestaande markten fundamenteel kunnen veranderen doordat gebruikelijke therapieën erdoor overbodig worden.

### Platform

Door gebruik te maken van vectoren die afgeleid zijn van adeno-geassocieerde virussen (AAV) als transportmiddel-van-keuze voor therapeutische genen, is het AMT gelukt om - wat waarschijnlijk het eerste stabiele en schaalbare AAV productieplatform is - te ontwikkelen en te valideren. Dit geotrooierde platform kan toegepast worden op een groot aantal zeldzame ziekten en stelt AMT in staat om door te gaan met haar strategie ten uitvoering te brengen. AAV-vectoren worden over het algemeen als veilig beschouwd en zijn op dit moment toegepast in meer dan 60 klinische studies.