

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 8 juli 2020

### **Sobi presenterar data vid ISTH:s virtuella kongress som visar på åtagandet att främja behandlingsmöjligheter för sällsynta blodsjukdomar**

[Sobi™](#) kommer att presentera data vid ISTH:s virtuella kongress (International Society on Thrombosis and Haemostasis) den 12–14 juli 2020 som ger ytterligare evidens avseende effekt och säkerhet med Elocta® (efmoroctocog alfa) och Alprolix® (eftrenonacog alfa), för behandling av hemofili A och B. Farmakokinetiska data för BIVV001 (rFVIII Fc-VWF-XTEN) kommer också att presenteras. Vidare kommer Sobi att presentera data för Doptelet® (avatrombopag) för behandling av trombocytopeni vid behandling av kronisk leversjukdom (CLD) och kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP).

#### **Finala data av tidigare obehandlade patienter med hemofili**

Finala data från PUPs A-LONG och PUPs B-LONG, långtidsstudier av tidigare obehandlade patienter (PUP) med hemofili A eller B som behandlats med Elocta respektive Alprolix, kommer att presenteras i samarbete med Sanofi. Behandling med faktorkoncentrat (faktorersättningsterapi) fortsätter att utgöra en hörnsten vid behandling av hemofili, och data som lyfts fram i presentationerna bidrar till ökad klinisk evidens för rFVIII Fc och rFIX Fc, faktorkoncentrat med förlängd halveringstid för behandling av hemofili A respektive B.

#### **Muntlig presentation:**

- Final results of the PUPs A-LONG Study: Evaluating Safety and Efficacy of rFVIII Fc in Previously Untreated Patients with Haemophilia A. Oral communication #OC 03.2. Söndag 12 juli 2020, kl. 10:15–11:30 EDT (16.15-17.30 CET) (i samarbete med Sanofi)

#### **Sammanfattningar:**

- Final Results of PUPs B-LONG Study: Evaluating Safety and Efficacy of rFIX Fc in Previously Untreated Patients with Haemophilia B. Poster presentation # PB0956 (i samarbete med Sanofi)
- A French Multicentre Prospective, Non-Interventional Study (B-SURE) Evaluating Real-World Usage and Effectiveness of Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) in People with Haemophilia B: Baseline Data. Poster presentation # PB0889
- Rationale and Study Design for a Prospective, Low-Interventional Study to Investigate whether Systematic Joint Examination Impacts Haemophilia Treatment Management Decisions in Patients with Haemophilia A in France: The A-MOVE Study. Poster presentation # PB0910
- No Relapse in Patients with Previous Inhibitors Switched to rFVIII Fc in Ongoing Observational Phase 4 Studies. Poster presentation # PB0936

- Females with Haemophilia in Nordic Countries Have a Higher Risk of Developing Pain, Anxiety and Depression Based on Treatment Patterns as Compared to Matched Controls: Data from a Registry Study over a Period of 11 Years. Poster presentation # PB0951
- First Interim Analysis of a 24-Month, Prospective, Non-Interventional, Multicentre Study in Germany Evaluating the Real-World Usage and Effectiveness of rFVIIIFc and rFIXFc in Patients with Haemophilia A or B (PREVENT). Poster presentation # PB0952
- Treatment-Based Risk Assessment of Developing Pain, Anxiety, and Depression as Compared to Matched Controls in People with Haemophilia. A Nordic Registry Study Over a Period of 11 Years. Poster presentation # PB0955

#### **Potential för nästan normala faktornivåer**

Farmakokinetiska data kommer att presenteras för BIVV001, den första von Willebrandfaktor-oberoende faktor VIII-behandlingen under klinisk utveckling med syfte att ge långvarigt höga faktornivåer hos patienter med hemofili A vid dosering en gång per vecka. BIVV001 utvecklas i samarbete med Sanofi, och dess molekylära utformning har potential att uppnå nära normala faktornivåer under större delen av veckan.

- Population pharmacokinetic (PK) analysis of BIVV001 (rFVIIIFc-VWF-XTEN), a new class of factor VIII (FVIII) replacement. Poster presentation # PB0949 (i samarbete med Sanofi)

#### **Presentation av data gällande behandling av trombocytopeni**

Sobi kommer även att presentera data inom det bredare området hematologi med sex postrar som avser användning av Doptelet vid CLD (CLD för närvarande godkänt av EMA och FDA) och ITP (ITP för närvarande godkänt av FDA).

#### **Sammanfattningar:**

- Achieving Clinically Relevant Platelet Count Response Thresholds with Avatrombopag (AVA) in Immune Thrombocytopenia (ITP). Poster presentation # PB1335
- Response to Avatrombopag (AVA) in Chronic Immune Thrombocytopenia: Alternative Efficacy Measures. Poster presentation # PB1349
- Pharmacokinetic/Pharmacodynamic (PK/PD) Modeling Providing Guidance for Selecting Avatrombopag (AVA) Dose When Switching from Eltrombopag in Chronic Immune Thrombocytopenia (ITP). Poster presentation # PB1350
- Pooled Safety Analysis of Avatrombopag (AVA) from Clinical Trials. Poster presentation # PB1352
- Stability of Crushed Avatrombopag Tablets Demonstrated in Multiple Food Vehicles. Poster presentation # PB1353

- Corticosteroid Reduction or Discontinuation after Initiation of Avatrombopag Treatment in Patients with Chronic Immune Thrombocytopenia (ITP). Poster presentation # PB1378

Alla sammanfattningar finns tillgängliga på [ISTH:s officiella webbplats](#)

#### **Om Elocta®**

Elocta® (efmoroctocog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktortterapi som utvecklats för hemofili A och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Elocta har skapats genom att fusionera faktor VIII med Fc-delen av immunoglobulin G, subgrupp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Elocta att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen finns kvar i kroppen (halveringstid). Även om Fc-tekniken har använts under 15 år, har Sobi och Sanofi förädlat teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Elocta tillverkas med en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa. Elocta är godkänt för behandling av hemofili A i EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz, och där det marknadsförs av Sobi. I USA, Japan, Kanada, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och andra länder är produkten godkänd som ELOCTATE® [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc Fusion Protein], och Sanofi har marknadsföringsrättigheterna.

Som för faktorerättningspreparat i allmänhet kan allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer ske vid behandling av hemofili A. Inhibitorer har rapporterats vid behandling med Elocta/ELOCTATE inklusive hos tidigare obehandlade patienter. Notera att tidigare obehandlade patienter och ITI behandling inte är inkluderade i EU:s produktinformation för Elocta.

#### **Om Alprolix®**

Alprolix® (eftrenonacog alfa) är en rekombinant faktortterapi som utvecklats för hemofili B och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Det har skapats genom att fusionera faktor IX med Fc-delen från immunoglobulin G subtyp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Alprolix att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen är kvar och har effekt i kroppen (halveringstid). Även om Fc-tekniken har använts under 15 år, har Sobi och Sanofi förädlat teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Alprolix tillverkas med en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B inom EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz, där det marknadsförs av Sobi, samt i USA, Kanada, Japan, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och i andra länder där Sanofi har marknadsföringsrättigheterna.

Allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer har observerats vid behandling med Alprolix av hemofili B, inklusive i tidigare obehandlade patienter. Notera att indikationen för tidigare obehandlade patienter inte är inkluderad i den europeiska produktinformationen.

#### **Om BIVV001**

BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som syftar till att förlänga blödningskyddet genom profylaktisk dosering en gång i veckan. BIVV001 bygger på Fc fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrands faktor och XTEN polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den enda behandling som visats kunna bryta igenom von Willebrandsfaktortaket, vilket tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Utveckling och kommersialisering av BIVV001 sker i samarbete med Sanofi. BIVV001 beviljades sär läkemedelsstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019. BIVV001 är för närvarande under klinisk utredning och har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

#### **Om Doptelet®**

Doptelet® (avatrombopag) är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO) som administreras tillsammans med föda. Doptelet är godkänt av både amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, och europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, för behandling av trombocytopeni (lågt antal blodplättar) hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp. I

juni 2019 godkände FDA Doptelet för behandling av vuxna patienter med kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) som visat otillräckligt svar på tidigare behandling. Kronisk ITP är en sällsynt autoimmun blödningsrubbnig som kännetecknas av ett lågt antal blodplättar. Sjukdomen drabbar cirka 60 000 vuxna i USA. Avatrombopag är inte godkänt för cytostatiskainducerad trombocytopeni (CIT), en fas 3-studie pågår för närvarande.

#### **Om Sobis och Sanofis samarbete**

Sobi och Sanofi samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix och Elocta/ELOCTATE. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera Elocta och Alprolix på sina marknader (i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt de flesta marknader i Mellanöstern). Sanofi har tillverkningsansvar för Elocta/ELOCTATE och Alprolix samt utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom på Sobis marknader. Fc-fusionstekniken har använts i mer än 15 år, men Sobi och Sanofi har tillsammans optimerat tekniken och är de första företagen som erbjuder den vid behandling av hemofili. I september 2019 valde Sobi att utnyttja tidig optionsrätt till utveckling och kommersialisering av BIVV001, en VIII-ersättningsterapi under utveckling med potential att ge ett utökad skydd mot blödningar med veckovis behandling för människor med hemofili A.

#### **Om Sobi™**

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hemofili, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1400 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

#### **För mer information kontakta:**

##### **Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations**

0733 666 599

[paula.treutiger@sobi.com](mailto:paula.treutiger@sobi.com)

##### **Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations**

0708 734 095

[linda.holmstrom@sobi.com](mailto:linda.holmstrom@sobi.com)