

PRESS RELEASE

Stockholm, 13 juli 2020

Finala data presenterade på ISTH2020 stärker evidensen för Elocta® och Alprolix® hos tidigare obehandlade patienter med hemofili

Finala resultat från studierna PUPs A-LONG och PUPs B-LONG, som utvärderat effekt och säkerhet för Elocta® (efmoroctocog alfa) och Alprolix® (eftrenonacog alfa) hos tidigare obehandlade patienter (previously untreated patients, PUPs) med hemofili A respektive B, presenterades vid ISTH2020 (International Society on Thrombosis and Haemostasis) Virtual Congress, 12-14 juli. Resultaten presenterades gemensamt av [Sobi™](#) och Sanofi, samarbetspartners för utveckling och kommersialisering av Alprolix och Elocta/ELOCTATE.

"Detta är de första finala resultaten som publiceras för faktorkoncentrat med förlängd halveringstid (EHL) hos tidigare obehandlade patienter som visar säkerhet och effekt vid behandling hos denna speciella patientpopulation," säger Milan Zdravkovic, Head of Research and Development och Chief Medical Officer på Sobi. "En av 5 000 respektive 20 000 pojkar föds med hemofili A eller B varje år¹, och dessa resultat markerar ett genombrott i den vetenskapliga evidensen för effekt och säkerhet vid behandling med Elocta och Alprolix hos dessa patienter. Resultaten stärker ytterligare bevisen för behandling med Elocta och Alprolix genom att addera till de data som redan finns från kliniska studier och från erfarenhet av klinisk användning efter lansering."

PUPs A-LONG (NCT02234323) var den första studien att utvärdera en EHL, rekombinant faktor VIII Fc-fusionsprotein (rFVIII Fc) för förebyggande och vid behovsbehandling av blödningar hos PUPs med svår hemofili A. Resultaten visar att Elocta är väl tolererat och effektivt i denna pediatrika patientpopulation. Andelen patienter som utvecklade neutraliserande antikroppar, så kallade inhibitorer, låg inom förväntad nivå.

PUPs B-LONG (NCT02234310) var den första studien av rekombinant faktor IX Fc-fusionsprotein (rFIX Fc) för förebyggande och vid behovsbehandling av blödningar hos PUPs med hemofili B. Alprolix var väl tolererat och effektivt både vid förebyggande och behandling av uppkomna blödningar. Den totala förekomsten av inhibitorer låg inom ett förväntat intervall. Inga höga nivåer av inhibitorer uppkom, och endast en patient utvecklade inhibitorer i låg koncentration.

Metod och effektvariabler

PUPs A-LONG var en öppen, multicenter, fas 3-studie med manliga PUP-patienter i åldern <6 år med hemofili A (<1 IU/dL endogen FVIII) som behandlats med rFVIII-Fc. Den primära effektvariabeln var utveckling av inhibitorer och sekundära effektvariabler inkluderade antal blödningar per år (ABR) och bedömning av behandlingsrespons med rFVIII-Fc vid blödningsepisoder.

PUPs B-LONG var en öppen, multicenter, multinationell, fas 3-studie med manliga PUP-patienter <18 år med hemofili B (≤2 IU/dL endogen FIX) som behandlats med rFIX-Fc. Den primära effektvariabeln var förekomst av inhibitorer och sekundära effektvariabler inkluderade antal blödningar per år (ABR) och bedömning av behandlingsrespons med rFIX-Fc vid blödningsepisoder.

Om Elocta®

Elocta® (efmorococog 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 faktorerersättningspreparat 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 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-ersättning terapi under utveckling med potential att ge ett ökat 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.

För mer information kontakta:

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
+46 733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communications & Investor Relations
+46 708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

-
1. <https://www.cdc.gov/ncbddd/hemophilia/data.html>