

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 10 September 2020

***New England Journal of Medicine* publicerar positiva finala resultat från fas 1/2a-studien med BIVV001 hos personer med svår hemofili A**

- BIVV001 är den första von Willebrandfaktoroberoende faktor VIII-behandlingen (FVIII) under klinisk utveckling och har potential att transformera FVIII-ersättningsterapin för människor med hemofili A
- BIVV001 har en unik design som utformats för att kunna ge nära normala faktoraktivitetsnivåer under större delen av veckan samt ett förlängt blödningskydd vid administrering en gång i veckan
- Resultaten från fas 1/2a-studien visade att en engångsdos av BIVV001 gav upphov till en långvarigt hög faktoraktivitet och en tre- till fyrfaldig ökning av halveringstiden jämfört med konventionell faktor VIII-ersättningsbehandling

Stockholm och Paris - [New England Journal of Medicine](#) har idag publicerat positiva resultat från fas 1/2a-studien för BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) som utvärderar säkerhet, tolerabilitet och farmakokinetik hos vuxna patienter med svår hemofili A. BIVV001 är en faktor VIII-behandling under klinisk utveckling utformad för att ge ett förbättrat blödningskydd vid profylaktisk administrering endast en gång i veckan. Sobi™ (STO:SOBI) och Sanofi samarbetar med utveckling och kommersialisering av BIVV001.

"BIVV001 representerar en potentiell ny klass av FVIII-ersättningsbehandling. De långvarigt höga nivåerna av faktoraktivitet och tre till fyra gångers ökning av den observerade halveringstiden understryker dess potential att ge nära normalt blödningskydd samtidigt som doseringsfrekvensen för profylaktisk behandling reduceras till en gång i veckan", säger Barbara A. Konkle, med dr, huvudprövare och Chief Scientific Officer, Bloodworks Northwest och professor i medicin/hematologi vid University of Washington. "Resultaten stödjer slutsatsen att BIVV001 kan utgöra ett betydelsefullt framsteg för patienter och vi ser fram emot att utforska detta vidare i den pågående fas 3 studien."

Resultat från fas 1/2a-studien

EXTEN-A är en öppen multicenterstudie som utvärderar säkerhet, tolerabilitet och farmakokinetik av BIVV001 i två kohorter med doserna 25 IE/kg respektive 65 IE/kg, hos patienter i åldrarna 19-63 år med svår hemofili A (NCT03205163). Deltagarna i studien erhöll en engångsdos av konventionell rekombinant faktor VIII (rFVIII), som efter en elimineringsperiod följdes av en engångsdos av BIVV001 om antingen 25 IE/kg eller 65 IE/kg. De primära effektmått inkluderar förekomst av biverkningar och utveckling av inhibitorer.

Viktiga resultat inkluderade:

- BIVV001 tolererades i allmänhet väl och inga inhibitorer detekterades inom 28 dagar efter engångsdosen. Inget fall av allergisk reaktion, anafylaxi eller behandlingsrelaterade biverkningar rapporterades under studien.
- I kohorten som fick engångsdosen 65 IE/kg av BIVV001 (n=8) uppnåddes en FVIII-halveringstid på 43 timmar, en mer än en trefaldig ökning av halveringstiden jämfört med de 13 timmar som observerats med rFVIII. Genomsnittlig nivå av FVIII-aktivitet var $\geq 51\%$ och därmed inom normala nivåer under fyra dagar samt 17% sju dagar efter dosering med BIVV001.
- I kohorten som fick engångsdosen 25 IE/kg av BIVV001 (n=6) uppnåddes en FVIII-halveringstid på 38 timmar, en fyra gånger längre halveringstid än de 9 timmar som observerats med rFVIII, samt genomsnittsnivåer av faktoraktivitet 5% sju dagar efter BIVV001-dosen.

Faktoraktivitetsnivåer återspeglar mängd faktor VIII i blodet hos individen och används för att bestämma svårighetsgraden av sjukdomen. Deltagare inkluderade i EXTEN-A-studien har svår hemofili A (faktornivåer på $<1\%$). Måttlig hemofili A kännetecknas av faktornivåer mellan 1-5%, och mild hemofili A av faktornivåer mellan 5-40%.

Potential att transformera faktorerättningsbehandling vid hemofili A

Halveringstiden för konventionell faktor VIII-terapi begränsas av von Willebrandfaktorn (VWF), som tros begränsa den tid som faktor VIII finns kvar i kroppen. BIVV001 är den första faktor VIII-behandlingen under utveckling som visats kunna bryta igenom VWF-taket, vilket potentiellt skulle kunna ge människor med hemofili A nära normala faktoraktivitetsnivåer under större delen av veckan.

"Som en del av vårt åtagande till alla som lever med eller berörs av hemofili, glädjer vi oss över den kliniska potentialen hos BIVV001 att kunna överbrygga de begränsningar som finns med nuvarande FVIII-behandlingar", säger Dietmar Berger, Global Head of Development på Sanofi. "New England Journal of Medicines publicering av dessa tidiga resultat stödjer möjligheten hos BIVV001 att ge människor med hemofili A ett högre skydd under längre tid så att de kan leva ett mer aktivt liv. Vi ser fram emot att presentera framtida utvärderingar av BIVV001 allteftersom vi fortsätter fas 3-utvecklingen."

"Faktor VIII-ersättningsterapi kvarstår som en hörnsten i behandlingen av hemofili A och är den enda behandlingen som kan användas vid flera behandlingsbehov, inklusive profylax, akut blödningskontroll samt perioperativ vård, säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "BIVV001 har potential att avancera faktorerättningsbehandlingen ytterligare genom att erbjuda patienter och läkare ett behandlingsalternativ som ger nära normala faktornivåer med minskad behandlingsbörda. Vi ser fram emot att fortsätta undersöka detta vidare i fas 3-studien."

Fas 3-studien XTEND-1

Säkerhet och effekt av BIVV001 utvärderas för närvarande i den pågående fas 3-studien XTEND-1 som omfattar tidigare behandlade patienter ≥ 12 år ($n=150$) med svår hemofili A. XTEND-1 är en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie med två parallella armar. Deltagarna i profylaxarmen kommer att få en profylaktisk dos med 50 IE/kg per vecka i 52 veckor. Deltagarna i vid-behovsarmen kommer att få BIVV001 (50 IE/kg) vid behov i 26 veckor efterföljt av byte till veckovis profylax i ytterligare 26 veckor.

Om BIVV001

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

Om Sanofi

Sanofi arbetar för att hjälpa människor hantera de sjukdomar och hälsobesvär som vi drabbas av under livets olika faser. Sanofi är ett globalt läkemedelsföretag fokuserat på hälsa hos människor. Sanofi förebygger sjukdomar genom vacciner och innovativa behandlingar som lindrar smärta och lidande. Sanofi stödjer den mindre andel som lider av sällsynta sjukdomar samt de miljoner människor med bestående och kroniska sjukdomar. Med mer än 100 000 anställda i över 100 länder, transformerar Sanofi forskningsdriven innovation till lösningar i sjukvården.

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 hematologi, 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

0733 666 599

paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations

0708 734 095

linda.holmstrom@sobi.com