

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 30 September 2020

Sobi och Selecta Biosciences presenterar topline-data från fas 2-studien med SEL-212 COMPARE som stödjer potentialen att nå viktig klinisk förbättring hos patienter med kronisk gikt

- *Alla data visar genomgående på ett bättre utfall för SEL-212 jämfört med pegloticase*
- *Numerärt högre svarsfrekvens för SEL-212 jämfört med pegloticase i det primära effektmåttet, sammanvägt resultat för tre och sex månader. Statistiskt signifikant högre svarsfrekvens för SEL-212 jämfört med pegloticase för tre månader*
- *Statistiskt signifikant större total minskning av genomsnittlig uratnivå i serum (SUA) för SEL-212 jämfört med pegloticase*
- *Patienter med tofi visade en väsentligt högre total svarsfrekvens med SEL-212 jämfört med pegloticase och en statistiskt signifikant total minskning av genomsnittliga SUA-nivåer med SEL-212 jämfört med pegloticase*
- *Datan visar att både SEL-212 och pegloticase tolererades väl*
- *Datan stöder initieringen av fas 3-programmet DISSOLVE*

Stockholm, Sverige och Watertown, Massachusetts, USA, -- Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO:SOBI) och Selecta Biosciences, Inc. (Nasdaq: SELB) presenterade idag topline-data från fas 2-studien COMPARE som vid behandling av kronisk gikt jämför effekten av SEL-212, en kombination av Selectas immuntoleransplattform ImmTOR™ och ett terapeutiskt uratoxidaseenzym (pegadrikas), med det i USA godkända urikasenzymet, pegloticase (KRYSTEXXA®).

Enligt FDA-riktlinjer avseende statistiska överväganden för kliniska prövningar under COVID-19 Public Health Emergency (juni 2020) modifierades den statistiska analysplanen och överlämnades till FDA före database lock för att redogöra för den potentiella effekten av COVID-19-pandemin på den statistiska analysen. Detta var nödvändigt då ökade protokollavvikelser i intention-to-treat (ITT) -populationen observerats under den pågående COVID-19-pandemin. Data presenteras därför per protokoll (PP*) och ITT.

Topline-resultaten från fas 2-COMPARE-studien visar:

- **SEL-212 visade numeriskt högre svarsfrekvens avseende det primära effektmåttet för tre och sex månader sammanvägt, men uppnådde inte det primära effektmåttet avseende statistisk signifikans.** SUA <6 mg/dL under minst 80% av tiden, sammanvägt för månad 3 och månad 6: 59% för SEL-212 jämfört med 46% för pegloticase, PP, p=0,056, 53% för SEL-212 jämfört med 46% för pegloticase, ITT, p=0,181.

- **Statistiskt signifikant högre svarsfrekvens för SEL-212 för månad 3:** SUA <6 mg/dL under minst 80% av tiden under månad 3: PP: 70% SEL-212 jämfört med 51% pegloticase, p=0,019, ITT: 70% SEL-212 jämfört med 54% pegloticase, p=0,017.
- **Numeriskt högre svarsfrekvens för SEL-212 för månad 6:** SUA <6 mg/dL under minst 80 % av tiden under månad 6: PP: 61% för SEL-212 jämfört med 47% för pegloticase, p=0,053, ITT: 54% för SEL-212 jämfört med 47% för pegloticase, p=0,179.
- **SEL-212 uppvisar statistiskt signifikant större total minskning av genomsnittliga SUA-nivåer jämfört med pegloticase :** Uratnivåerna i serum (SUA) sänktes med i genomsnitt 6,68 mg/dL (beräknat genom att subtrahera baslinje-SUA från genomsnittlig SUA under behandlingsperioden) för patienter som behandlats med SEL- 212 jämfört med 4,51 mg/dL för patienter som behandlats med pegloticase , p=0,003, sammanvägt för 3 och 6 månader, PP; ITT: 6,79 mg/dL SEL-212 jämfört med 4,85 mg/dL pegloticase, p=0,003.
- **Hos patienter med tofi vid baslinjen, en väsentligt högre svarsfrekvens för SEL-212 jämfört med pegloticase vid det primära effektmåttet, och statistiskt signifikant minskning av genomsnittlig SUA:** Cirka 41% av patienterna i fas 2-studien COMPARE hade synlig tofi vid baslinjen. En större skillnad av det primära effektmåttet mellan SEL-212 jämfört med pegloticas hos patienter med tofi observerades. PP: 58% för SEL-212 jämfört med 39% för pegloticase, ITT: 57% för SEL-212 jämfört med 41% för pegloticase. Dessa patienter visade en genomsnittlig minskning av uratnivån i serum (SUA) på 7,42 mg/dL då de behandlats med SEL- 212 jämfört med 4,64 mg/dL för patienter som behandlats med pegloticase, p=0, 016, sammanvägt 3 och 6 månader, PP; ITT: 7,32 mg/dL SEL-212 jämfört med 4,89 mg/dL Pegloticase, p=0,019.
- **SEL-212 och pegloticase var säkra och tolererades väl.** Inga dödsfall inträffade under studien. Det fanns inga noterbara skillnader i allvarliga TEAs (Treatment Emergent Adverse Events), allvarliga behandlingsrelaterade TEAs, eller infusionsreaktioner mellan de två grupperna. En fullständig analys av säkerhetssignaler, inklusive incidens av giktanfäll och svårighetsgrad görs vid utvärdering av den fullständiga datamängden och kommer att rapporteras tillsammans med den fullständiga effektanalysen vid en senare medicinsk konferens.

"Det finns ett tydligt behov av nästa generations behandling av kronisk gikt, och fas 2 COMPARE-studien visade att SEL-212 ledde till en statistiskt signifikant minskning av urinsyranivåerna i serum jämfört med standardbehandling för patienter som lider av denna smärtsamma, försvagande sjukdom," säger Robert T. Keenan, MD, MBA, MPH, styrelsecertifierad reumatolog vid Duke University School of Medicine och huvudprövare för COMPARE-studien. "Jag tror att SEL-212 kan ha en meningsfull påverkan på patienters liv och leda till ett välbehövligt behandlingsalternativ för patienter med kronisk gikt."

"Förutsatt att SEL-212 blir godkänt anser vi att det har potential att förbättra livet för patienter med kronisk gikt eftersom SEL-212 adresserar flera betydande medicinska behov, inklusive potential att ge en betydande och varaktig minskning av uratnivån i serum med en enkel och behändig månatlig behandling", sade Carsten

Brunn, Ph.D., vd och koncernchef för Selecta. "Topline-datan från COMPARE-studien visar att vår ImmTOR-plattform levererar och möjliggör bibehållen terapeutisk verkan när den kombineras med en starkt immunogen enzymterapi, såsom vår egenutvecklade pegadrikas. Vi ser fram emot att utvärdera SEL-212 i samarbete med Sobi i våra två pågående dubbelblinda, placebokontrollerade fas 3-studier DISSOLVE samt fortsätta att utveckla vår ImmTOR-plattform vid genterapi."

Guido Oelkers, Ph.D., vd och koncernchef för Sobi, tillade: "SEL-212 är en mycket differentierad produktkandidat för behandling av kronisk gikt, och dessa resultat stärker vår uppfattning om dess potential. Vi är stolta över att samarbeta med Selecta i det pågående fas 3-programmet som redan har inkluderat den första patienten."

SEL-212 har licensierats till Sobi som ansvarar för utveckling samt regulatoriska och kommersiella aktiviteter på samtliga marknader utanför Kina. Sobi och Selecta tillkännagav nyligen att man inlett två dubbelblinda, placebokontrollerade kliniska fas 3-studier (DISSOLVE I and DISSOLVE II) med SEL-212 vid behandling av kronisk gikt. Topline-data från DISSOLVE-programmet förväntas under andra halvåret 2022, och en godkännandeansökan, Biologics License Application (BLA) förväntas lämnas in till FDA under första kvartalet 2023.

Om fas 2-studien COMPARE

Fas 2-studien COMPARE utvärderade 170 patienter med kronisk gikt, varav 83 fick en infusion av SEL-212 en gång per månad i sex månader och 87 fick en infusion av KRYSTEXXA® två gånger per månad under sex månader. Det primära effektmåttet var en jämförelse mellan procentandelen patienter på SEL-212 respektive KRYSTEXXA som uppnådde och bibehöll en minskning av uratnivån i serum (SUA) <6 mg/dL under minst 80 procent av tiden sammantaget vid månad tre och månad sex. Viktiga sekundära effektmått var en jämförelse mellan procentandelen patienter på SEL-212 respektive KRYSTEXXA som uppnådde och bibehöll en minskning av uratnivån i serum (SUA) <6 mg/dL under minst 80 procent av tiden vid mätpunkterna tre respektive sex månader, och den genomsnittliga minskningen av uratnivån i serum vid mätpunkterna tre respektive sex månader.

*PP-populationen definieras som patienter som medicinerats med åtminstone en dos av studieläkemedel och som fullföljt minst 65 procent av studiebesöken under förutsättning att inte ett tidigt avslut från studien har skett på grund av att stoppregler för studien har uppnåtts, eller på grund av biverkningar, eller med anledning av diskretion hos prövaren. Patienterna ska även inte ha några större avvikelser från protokollet som påverkar bedömning av det primära effektmåttet.

Om SEL-212

Produktkandidaten SEL-212 är en kombinationsbehandling utformad för att varaktigt kontrollera uratnivåer i serum (SUA) hos patienter med kronisk gikt, samt att potentiellt minska skadliga ansamlingar av urat i vävnaderna. Dessa kan, om de lämnas obehandlade, leda till funktionsnedsättande giktanfall och leddeformationer. SEL-212 består av pegadrikas, Selectas patentskyddade enzym som bryter ner urinsyra, och administreras tillsammans med ImmTOR som utformats för att dämpa bildandet av anti-läkemedels antikroppar (ADAs). Anti-läkemedels antikroppar, ADAs, utvecklas på grund av ett oönskat immunsvaret mot biologiska läkemedel, vilket kan minska behandlingens effektivitet och tolerabilitet. Detta är ett kvarstående problem för många behandlingsmetoder och sjukdomstillstånd, inklusive kronisk gikt.

Om kronisk gikt

Gikt är den vanligaste formen av inflammatorisk artrit. Över 8,3 miljoner patienter i USA har diagnostiserats med gikt. Sjukdomen orsakas av höga nivåer av urinsyra i kroppen som ansamlas runt lederna och andra vävnader vilket kan resultera i akuta attacker med intensiv smärta. Cirka 160 000 patienter i USA lider av kronisk gikt, ett smärtsamt och funktionsnedsättande tillstånd där patienter inte lyckas sänka uratnivåerna i serum till under 6 mg/dL och därför drabbas av flera akuta giktattacker per år och kan utveckla nodulära

ansamlingar av uratkristaller som kallas tofi. Förhöjda uratnivåer i serum är förknippat med sjukdomar i hjärta, kärlsystem, metabolism, njure och leder.

Om Selecta Biosciences, Inc.

Selecta Biosciences, Inc. (NASDAQ: SELB) drar nytta av sin kliniskt validerade ImmTOR™ plattform för att utveckla tolerogena terapier som selektivt dämpar oönskade immunsvar. Med en bevisad förmåga att inducera tolerans mot starkt immunogena proteiner har ImmTOR potential att förstärka effekten av biologiska terapier, inklusive återdosering av livräddande genterapier, samt återställa kroppens naturliga självtolerans i autoimmuna sjukdomar. I början av 2021 förväntas Selecta, i samarbete med AskBio, påbörja kliniska studier i bolagets första program som syftar till att adressera AAV-genterapiers immunogenicitet vid behandling av metylmalonaciduri (MMA), en sällsynt metabol sjukdom. Bland övriga produktkandidater som är under utveckling ingår ett helägt program fokuserat på behandling av IgA-nefropati som drivs av ImmTor och ett terapeutiskt enzym. Selecta licensierade nyligen sin fas 3-produktkandidat, SEL-212, för kronisk gikt till Sobi. Mer information finns på www.selectabio.com.

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 1 400 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. För 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.

Denna information är sådan information som Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom Linda Holmström, Corporate Communications and Investor Relations försorg, för offentliggörande den 30 september 2020 kl. 22:15 CEST.

Kontaktpersoner:

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

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