

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 13 april 2021

### Första patienten doserad i fas 3-studien XTEND-Kids med efanesoctocog alfa hos barn med hemofili A

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) meddelar i dag att den första patienten har doserats i interventionsstudien XTEND-Kids, en öppen, fas-3 studie med efanesoctocog alfa (BIVV001) hos pediatrika patienter med svår hemofili A. XTEND-Kids är designad för att utvärdera effekt, säkerhet och farmakokinetik av efanesoctocog alfa vid profylaktisk behandling administrerat en gång per vecka. Studien kommer pågå under 52 veckor. Sobi och Sanofi samarbetar kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa.

Faktor VIII (FVIII)-ersättningsterapi som enskild behandling har i studier och genom erfarenheter i klinisk vardag visats effektivt kontrollera och förhindra blödning vid flera olika behandlingsbehov, inklusive kirurgi<sup>1</sup>. Efanesoctocog alfa representerar en potentiell ny klass av FVIII-ersättningsterapi med långvarigt höga faktornivåer och är den första rekombinanta FVIII-behandlingen som utformats för att vara oberoende av von Willebrandfaktorn, vilket förlänger halveringstiden. Den är under klinisk utveckling och har potential att erbjuda förlängt blödningsskydd vid administrering endast en gång i veckan<sup>2</sup>, vilket skulle innebära att det då tillgodoser ett stort medicinskt behov för personer som lever med svår hemofili A.

"Efanesoctocog alfa har potential att förbättra behandlingen för människor med hemofili A," säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "Starten av fas 3-utvecklingen i den pediatrika populationen visar på Sobis fortsatta engagemang att främja bättre vårdstandard för människor som lever med hemofili A, oavsett ålder".

Efanesoctocog alfa är under klinisk utveckling i fas 3 och beviljades Fast Track av amerikanska läkemedelsverket FDA i februari 2021 samt särsläkemedelsbeteckning av både FDA i augusti 2017 och EU-kommissionen i juni 2019.

#### Om XTEND-Kids

XTEND-Kids är en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie innefattande en behandlingsarm. Deltagarna kommer att få en profylaktisk dos per vecka med efanesoctocog alfa i 52 veckor. XTEND-Kids kommer att utvärdera effekt, säkerhet och farmakokinetik hos cirka 65 tidigare behandlade patienter ≤12 år med svår hemofili A.

#### Om efanesoctocog alfa (BIVV001)

Efanesoctocog alfa (BIVV001) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som syftar till att förlänga blödningsskyddet för personer med hemofili genom profylaktisk dosering en gång i veckan. Efanesoctocog alfa 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 enda behandling som visats kunna bryta igenom von Willebrandfaktortaket, vilket

tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Efanesoctocog alfa beviljades sär läkemedelsstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019.

#### **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 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. Sedan september 2019, samarbetar Sobi och Sanofi om utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa (BIVV001), en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling med potential att ge ett utökat 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 hematologi, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1 500 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. För 2020 uppgick Sobis totala intäkter till 15,3 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

#### **För mer information, vänligen kontakta**

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations  
0733 666 599  
[paula.treutiger@sobi.com](mailto:paula.treutiger@sobi.com)

Maria Kruse, Corporate Communication & Investor Relations  
0767 248 830  
[maria.kruse@sobi.com](mailto:maria.kruse@sobi.com)

#### **References:**

1. Srivastava, A., Brewer, A.K., Mauser-Bunschoten, E.P., Key, N.S., Kitchen, S., Llinas, A., Ludlam, C.A., Mahlangu, J.N., Mulder, K., Poon, M.C., Street, A. and (2013), Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*, 19: e1-e47.
2. Konkle BA, Shapiro AD, Quon DV, Staber JM, Kulkarni R, Ragni MV, Chhabra ES, Poloskey S, Rice K, Katragadda S, Fruebis J, Benson CC. BIVV001 Fusion Protein as Factor VIII Replacement Therapy for Hemophilia A. *N Engl J Med*. 2020 Sep 10;383(11):1018-1027.

XTEN® är ett registrerat varumärke som tillhör Amunix Pharmaceuticals, Inc