

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 1 juni 2021



Sobi på EHA:s virtuella kongress 2021: fokus på resultat i PNH och behandling för ITP

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) kommer att presentera data som visar på bolagets framsteg i utvecklingen av behandlingar för sällsynta hematologiska sjukdomar vid EHA:s (European Haematology Association) virtuella kongress 9–17 juni 2021. Under kongressens temadagar kommer Sobi att vara värd för två evenemang: en uppdatering inom hematologi avseende kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) och ett rundabordssamtal om paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH). Båda evenemangen är öppna för alla deltagare i EHA, ett kongress där hematologer samlas för att utbyta erfarenheter och befästa kunskap som förvärvats från världens alla hörn.

“Vår målsättning är att förändra livet för personer med sällsynta sjukdomar. Bredden på våra aktiviteter och presentationer på EHA är viktiga bidrag och ett led i vårt åtagande att utveckla förståelsen och kunskapen kring dessa sjukdomar”, säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi.

PEGASUS-studiens 48-veckorsdata för pegcetacoplan presenteras för första gången

Resultaten från PEGASUS-studiens 48-veckorsdata för pegcetacoplan vid PNH presenteras för första gången. PEGASUS utvärderade effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos vuxna patienter med otillräckligt svar på tidigare behandling med eculizumab. Data från PEGASUS kommer att presenteras både muntligt och som poster, samt i publicerade abstracts.

Muntlig presentation av topline-resultat, 48-veckorsdata från PEGASUS

- Forty-eight week efficacy and safety of pegcetacoplan in adult patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and suboptimal response to prior eculizumab treatment (S174), fredag 11 juni (kl. 09:00 CEST/ 03:00 EST)

Rundabordssamtal

- PNH Expert Roundtable, tisdag 15 juni (kl. 9.45–10.30 CEST)

E-posterpresentation

- Effect of pegcetacoplan on quality of life in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: Week 48 of PEGASUS phase 3 trial comparing pegcetacoplan to eculizumab (EP595)
- Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria's humanistic and economic burden in patients receiving C5 inhibitors in Europe (EP1191)

Publicerade abstracts

- Categorized hematologic response to pegcetacoplan versus eculizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: Post hoc analysis of PEGASUS phase 3 randomized trial data (PB1477)
- Comparative effectiveness of pegcetacoplan versus ravulizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: A matching-adjusted indirect comparison using 26 week PEGASUS phase 3 trial data (PB1485)
- Injection-site reactions at week 48 in the randomized phase 3 PEGASUS trial of pegcetacoplan compared with eculizumab for individuals with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PB1475)
- Long-term effects in subgroups of patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treated with pegcetacoplan versus eculizumab: 48-week analysis of PEGASUS phase 3 trial (PB1471)

Data från klinisk vardag för Doptelet® vid behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni

Sobi kommer att presentera abstracts avseende användningen av Doptelet (avatombopag) vid kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP), inklusive data från klinisk vardag i USA.

Uppdatering inom hematologi

- ITP Update in Haematology, söndag 13 juni (kl. 18.00–19.30 CEST)

E-posterpresentation

- A multicenter U.S. study of avatrombopag switch therapy following prior eltrombopag or romiplostim. Abstract Code: EP1144
- Durability of platelet count response in patients treated with avatrombopag for immune thrombocytopenia (ITP): Post-hoc results from the phase 3 core and open-label extension study. Abstract Code: EP1148
- Length of thrombopoietin receptor agonist (TPO-RA) treatment and persistence in immune thrombocytopenia (ITP): Real world United States claims analyses. Abstract Code: EP1151

Om Pegcetacoplan

Pegcetacoplan är ett läkemedel, en målinriktad behandling mot C3, det centrala proteinet i komplementsystemet. Det verkar proximalt i komplementsystemet genom att kontrollera både C3b-medierad extravaskulär hemolys och terminal komplementmedierad intravaskulär hemolys. Pegcetacoplan utvärderas i flera kliniska studier inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. I maj 2021 godkändes pegcetacoplan som EMPAVELI™ i USA för behandling av vuxna med paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH). Ansökan om marknadsföringstillstånd för behandling av PNH är under granskning hos den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Pegcetacoplan har också beviljats så kallad Fast Track-status av FDA för behandling av geografisk atrofi, och har erhållit särlekemedelsstatus för behandling av C3 glomerulopati (C3G) från både FDA och EMA. För ytterligare information om kliniska studier med pegcetacoplan, se www.apellis.com/our-science/clinical-trials.

Om Doptelet® (avatrombopag)

Doptelet är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) som imiterar de biologiska effekterna av trombopoietin (TPO) och stimulerar megakaryocyternas utveckling och mognad, vilket resulterar i ett ökat antal blodplättar. Doptelet är godkänt av EMA och FDA för behandling av trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp, . samt för behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos vuxna patienter som visat otillräckligt svar på tidigare behandling. Kronisk ITP är en sällsynt autoimmun blödningsrubbnings sjukdom som kännetecknas av ett lågt antal blodplättar. Incidensen av primär ITP hos vuxna är 3,3/100 000 per år med en prevalens på 9,5 per 100 000 vuxna¹.

Om Sobi och Apellis samarbete

Sobi och Apellis inledde ett samarbete för att utveckla och kommersialisera systemisk pegcetacoplan i oktober 2020. Bolagen har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, medan Apellis har kommersialiseringrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA och behåller globala kommersialiseringrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA).

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.

För mer information, vänligen kontakta

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
0733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Maria Kruse, Corporate Communication & Investor Relations
0767 248 830
maria.kruse@sobi.com

¹ (Lambert et al. Blood 201)