

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 7 februari 2019

Sobi presenterar omfattande studiedata om förlängd halveringstid vid EAHAD

[Sobi™](#) kommer att presentera data vid European Association of Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) årliga konferens i Prag, Tjeckien, 6–8 februari 2019, som visar evidens på säkerhet, effekt och långsiktiga fördelar med företagets hemofilibehandlingar med förlängd halveringstid. Studierna visar på Sobis åtagande att utveckla behandlingar som ger personer som lever med hemofili nya möjligheter och som kan förändra deras liv.

Sobi och vår samarbetspartner Sanofi kommer att presentera interimdata rörande förekomsten av inhibitorer i tidigare obehandlade patienter (previously untreated patients, PUPs) med svår hemofili A som har behandlats med faktor VIII Fc fusionsprotein (Elocta®) i PUPs A-LONG studien. PUPs A-LONG är en öppen, enarmad, multicenter, fas-3 studie med profylaxbehandling av PUPs med rFVIII Fc. Denna interimanalys kommer att vara de första data som rapporteras gällande behandling av PUPs med en produkt med förlängd halveringstid. Då studien pågår kommer slutgiltiga resultat att presenteras vid en framtida konferens.

Även den långsiktiga säkerheten och effekten av profylaktisk behandling med rekombinant faktor VIII Fc fusionsprotein och faktor IX Fc fusion protein (Alprolix®) i vuxna, unga och barn med hemofili A respektive B kommer att presenteras i de longitudinella analyserna av slutgiltiga data från Sobi och Sanofis studieprogram A-LONG/Kids A-LONG/ASPIRE och B-LONG/Kids B-LONG/B-YOND.

”Vi är stolta över att kunna presentera så omfattande data på behandling med rFVIII Fc och rFIX Fc. ASPIRE och B-YOND-studierna är de längsta studier som har genomförts på behandlingar med förlängd halveringstid för hemofili A respektive B och de visar på de möjligheter som dessa behandlingar kan erbjuda patienter,” säger Milan Zdravkovic, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. ”Genom att öka den vetenskapliga evidensen och förståelsen för den kliniska betydelsen av våra produkter med förlängd halveringstid för alla patientgrupper understryker vi vårt fokus på forskning och utveckling av behandlingar som innebär en meningsfull skillnad för patienter och möjliggör ett liv bortom hemofili.”

Sammanfattningar:

- Incidence of inhibitors in previously untreated patients with severe haemophilia A treated with rFVIII Fc: the PUPs A-LONG study: Hot topics session, fredag 8 februari 2019, 13:15 – 14:15. Muntlig presentation #OR14
- Long-term efficacy and safety of prophylactic treatment with recombinant factor IX Fc fusion protein (rFIX Fc) in subjects with severe or moderate haemophilia B: final longitudinal analysis of B-LONG/Kids B-LONG and B-YOND: Poster #P009

- Long-term efficacy and safety of prophylactic treatment with recombinant factor VIII Fc fusion protein (rFVIII Fc) in subjects with severe haemophilia A: final longitudinal analysis of A-LONG/Kids A-LONG and ASPIRE: Poster #P039
- Improvements in joint health during long-term use of recombinant factor VIII Fc fusion protein prophylaxis in subjects with haemophilia A: Poster #P158
- Improvement in target joint bleeding during long-term use of recombinant factor IX Fc fusion protein prophylaxis in subjects with haemophilia B: Poster #P167
- Update on the verITI-8 study: a global, multicentre, open-label, interventional study evaluating recombinant factor VIII Fc fusion protein for first-time immune tolerance induction (ITI) therapy: Poster #P179
- Assessment of clotting activity of recombinant FIX Fc fusion protein in French Haemostasis laboratories: Poster #P059
- A simple functional mobility assessment tool for use in clinical practice or real-life studies with haemophilia patients: step 1, development of the questionnaire (på franska): Poster #P068

Alla sammanfattningarna av presentationerna kan nås via [EAHADs officiella hemsida](#).

Om Elocta®

Elocta® (efmoroctocog 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 Bioverativ förädlad 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 Bioverativ har marknadsföringsrättigheterna. Som för faktorersättningspreparat 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 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 Bioverativ förädlad 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 Bioverativ 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 hemofili A och B

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt. Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 födda pojkar per år. Hemofili B förekommer hos ungefär en av 25 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili förekommer mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 190 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.ⁱ

Personer med hemofili A och B upplever blödningstillfällen som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående leddskador samt livshotande blödningar. Profylaktiska injektioner av faktor VIII och IX kan tillfälligt ersätta de koagulationsfaktorer som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar.ⁱⁱ The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylaktisk behandling eftersom sådan kan förhindra blödningar och leddestruktion.ⁱⁱⁱ

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 och har utvecklings- och kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom Sobis marknader. Sobi har inkluderat Fc fusionsmolekylerna rFVIII-Fc-VWF-XTEN och rFIX-Fc-XTEN för potentiell behandling av hemofili A och B till samarbetsavtalet med Sanofi.

Om Sobi™

Sobi är ett internationellt specialitläkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vår vision är att bli ansedd som en global ledare i att tillhandahålla innovativa och livsförändrande behandlingar för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på behandlingar inom Haemophilia och Specialty Care. Samarbeten avseende utveckling och kommersialisering av produkter inom Specialty Care är en viktig del av vår strategi. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom proteinteknik och produktion av biologiska läkemedel. 2017 uppgick intäkterna till 6,5 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 850. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information kontakta:

Media relations

Linda Holmström, Senior Communications Manager
0708 73 40 95
linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations
+1 347 224 0819, +1 212 579 0506
jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ The WFH Annual Global Survey 2017 <https://www.wfh.org/en/data-collection>

ⁱⁱ World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B. Accessed on: June 17, 2016.

ⁱⁱⁱ Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Accessed on December 2015