

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 10 maj 2019



### Individualiserad behandling med faktorkoncentrat med förlängd halveringstid bidrar till blödningskontroll i ortopedisk kirurgi

Idag kommer [Sobi™](#) och Sanofi presentera data som visar att Elocta® (efmoroctocog alfa) och Alprolix® (eftrenonacog alfa) kan erbjuda blödningskontroll i samband med kirurgi i ett brett spektrum av större och mindre kirurgiska ingrepp hos personer med svår hemofili A respektive B. Presentationerna kommer att ske i samband med World Federation of Hemophilias 16<sup>th</sup> International Musculoskeletal Congress (MSK) 10–12 maj 2019, i Madrid, Spanien.

En allvarlig komplikation för personer med hemofili är återkommande blödningar i lederna och efterföljande försämrad ledhälsa. Ledkirurgi och rehabilitering av skadade leder kan förbättra livskvaliteten för dessa patienter. Men, kirurgiska ingrepp innebär en risk för personer med hemofili på grund av den av sjukdomen orsakade försämrade levringsförmågan i blodet och av den ökade blödningsrisken i samband med ingreppet. Det är möjligt att minimera blodförlusten under kirurgi genom att behandla patienter med en optimal och individanpassad nivå av faktorkoncentrat för att stödja blödningskontroll. Blödningsrisken för en hemofilipatient är omvänt proportionell till faktornivåerna i blodet<sup>1</sup> och behandlingsriktlinjer rekommenderar att man mäter faktornivåerna efter kirurgi.

”Ortopedisk kirurgi är vanligt i hemofili eftersom ett stort antal hemofilipatienter har skadade leder till följd av suboptimala faktornivåer som leder till återkommande blödningar i lederna,” säger Armin Reininger, Head of Scientific and Medical Affairs vid Sobi. ”Därav är det av stor vikt att kunna erbjuda individanpassad förebyggande behandling för att minska behovet och frekvensen av kirurgi samt ha en optimal och mätbar faktorbehandling i samband med kirurgi. För att bibehålla god ledhälsa, är det också viktigt att minska smärta och öka patientens rörlighet så att de fullt ut kan delta i vardagliga aktiviteter.”

Data som presenteras vid MSK stödjer att användningen av individanpassad behandling med rFVIIIc (efmoroctocog alfa) och rFIXc (eftrenonacog alfa) erbjuder blödningskontroll i samband med kirurgi vid ett brett spektrum av större och mindre kirurgiska ingrepp för individer i alla åldrar med svår hemofili A respektive B. De flesta större ingrepp krävde en injektion för att bibehålla blödningskontroll under operationen och alla hemostassvar bedömdes av prövningsledaren/kirurgen vara utmärkta eller goda. Båda behandlingarna tolererades väl.

---

<sup>1</sup> Fijnvandraat K, Cnossen MH, Leebeek FW, Peters M. Diagnosis and management of haemophilia. *BMJ*. 2012;344:e2707.

### Resultat från studierna:

Data presenterar den sammantagna slutgiltiga post hoc-analysen av individer som genomgick kirurgi under det att de deltog i studierna A-LONG, Kids A-LONG och ASPIRE och som behandlats med en av prövningsledaren bestämd dos rFVIII Fc. Detsamma gäller för den sammantagna slutgiltiga post hoc-analysen av individer som genomgick större och mindre kirurgi i studierna B-LONG, Kids B-LONG och B-YOND och som behandlats med en av prövningsledaren bestämd dos rFIX Fc.

Fyrtiosex större och 90 mindre kirurgiska ingrepp utfördes på 32 respektive 70 individer med hemofili A. rFVIII Fc gavs på dagen för det kirurgiska ingreppet vid 44 större (som inkluderar 33 ortopediska ingrepp) och 84 mindre ingrepp. De flesta större (87 procent) och mindre (89 procent) ingreppen krävde  $\leq 1$  injektion av rFVIII Fc (inklusive initial bolusdos) för att bibehålla hemostas under ingreppet. Alla hemostassvar (för vilka denna information var tillgänglig) bedömdes vara utmärkta (stora ingrepp: 93 procent; mindre ingrepp: 85 procent) eller goda. Inga biverkningar bedömdes vara relaterade till behandling med rFVIII Fc.

Trettiofem större och 62 mindre kirurgiska ingrepp utfördes på 22 respektive 37 individer med hemofili B. rFIX Fc administrerades på dagen för det kirurgiska ingreppet för 35 större (som inkluderar 24 ortopediska ingrepp) och 55 mindre ingrepp. De flesta större (82,9 procent) och mindre (87,1 procent) ingreppen krävde  $\leq 1$  injektion av rFIX Fc (inklusive initial bolusdos) för att bibehålla hemostas under ingreppet. Hemostassvaren bedömdes vara utmärkta för alla större ingrepp och för 95 procent av de mindre. Inga biverkningar bedömdes vara relaterade till behandling med rFIX Fc.

Säkerhet och effektivitet av profylaktisk behandling med rFVIII Fc (efmoroctocog alfa) för patienter med svår hemofili A har visats i A-LONG, Kids A-LONG, och ASPIRE studierna. Säkerhet och effektivitet av profylaktisk behandling med rFIX Fc (eftrenonacog alfa) för patienter med svår hemofili B har visats i B-LONG, Kids B-LONG, och B-YOND studierna.

### Abstracts:

- Poster P-03: Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) for Perioperative Haemostatic Management in Severe Haemophilia B
- Poster P-14: Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) Efficacy for Perioperative Haemostatic Management in Severe Haemophilia A

---

### 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 Sanofi 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 Sanofi har marknadsföringsrättigheterna.

Som för faktorerersättningspreparat 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 faktorterapi 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 Sanofi 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 Sanofi 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 196 700 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.<sup>i</sup>

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.<sup>ii</sup> The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylaktisk behandling eftersom sådan kan förhindra blödningar och leddestruktion.<sup>iii</sup>

#### **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

kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom Sobis marknader. 2014 valde Sobi att inkludera Fc fusionsmolekylen rFVIII-Fc-VWF-XTEN för potentiell behandling av hemofili A till samarbetsavtalet med Sanofi men har ännu inte utnyttat optionsrätten.

#### **Om Sobi™**

På Sobi gör vi betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Som ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag, tillhandahåller vi innovativa behandlingar inom hemofili, immunologi samt nischläkemedel. Vi tillför något sällsynt till sällsynta sjukdomar—en tro på styrkan av fokus, kraften av att vara snabbtänkta och potentialen hos de människor vi finns till för. Det hårda arbete och den hängivenhet som våra cirka 1050 medarbetare runt om i världen bidrar med har varit avgörande för vår framgång i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. 2018 uppgick de totala intäkterna till 9,1 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

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

Charlotte af Klercker, Corporate Communications  
+46 707 297 327

[charlotte.afklercker@sobi.com](mailto:charlotte.afklercker@sobi.com)

Paula Treutiger, Head of Communications & Investor Relations  
+46 733 666 599

[paula.treutiger@sobi.com](mailto:paula.treutiger@sobi.com)

---

<sup>i</sup> World Federation of Hemophilia. Annual Global Survey 2017, publicerad oktober 2018.

<http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1714.pdf>

<sup>ii</sup> World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Tillgänglig på: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637>. Besökt 9 maj 2019.

<sup>iii</sup> Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Besökt 9 maj 2019.