

PRESSMEDDELANDE

Stockholm den 8 juli 2019

Interimsdata med utvärdering av Elocta® för immuntoleransinduktion hos personer med svår hemofili A som utvecklade inhibitorer presenterades på ISTH 2019

VerITI-8 är en pågående fas 4-studie som utvärderar effektiviteten av Elocta® (efmoroctocog alfa) för immuntoleransinduktion (ITI) som förstagångsbehandling hos personer med svår hemofili A som utvecklade inhibitorer. Interimsdata från denna studie, som genomförs gemensamt av [Sobi™](#) och Sanofi, presenterades på *The XXVII Congress of the International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH)*.

Utveckling av inhibitorer, eller antikroppar mot FVIII, vid behandling med faktorerersättningspreparat är en av de mest allvarliga komplikationerna för personer med hemofili och förekommer hos cirka 30 procent av personer med svår hemofili A. Eliminering av inhibitorer genom ITI är för närvarande den behandling som räknas som standard. ITI innebär att faktorerersättningspreparat ges regelbundet över en tidsperiod för att träna immunsystemet att acceptera behandlingen utan att reagera på den. Eliminering av inhibitorer genom att använda konventionella FVIII-preparat tar cirka 12–18 månader, men i svårare fall kan det ta över två år. Elocta är för närvarande inte godkänt för ITI.

”Utveckling av inhibitorer fortsätter att vara en stor utmaning för personer med hemofili och är fortfarande ett område med stora medicinska behov” säger Armin Reiningger, Head of Medical & Scientific Affairs på Sobi. ”Dessa tidiga data är uppmuntrande och vi ser fram emot att ytterligare utvärdera användningen av Elocta vid ITI för personer med svår hemofili A som utvecklade inhibitorer. Denna studie och vår pågående forskning med Sanofi är en del av vårt åtagande att hjälpa människor som lever med hemofili till ett liv med större möjligheter.”

VerITI-8 är en pågående prospektiv, öppen studie som utvärderar Elocta med ITI som förstagångsbehandling hos patienter med svår hemofili A som utvecklade hög koncentration av inhibitorer (historiskt maxvärde ≥ 5 Bethesda enheter (BU)/ml). Det primära måttet är tiden det tar att utveckla tolerans med Elocta (framgångsrik ITI). De sekundära måtten inkluderar antal blödningar per år (ABR), antal patienter som har uppnått en framgångsrik ITI-behandling, biverkningar och faktorkonsumtion.

I VerITI-8 definieras tolerans (framgångsrik ITI-behandling) som uppnådd negativ Bethesda-koncentration vid två läkarbesök i följd, normal FVIII-ökning i blodprov efter injektion ($\geq 66\%$ av förväntad stegring) vid två läkarbesök i följd och farmakokinetik med en halveringstid av Elocta ≥ 7 timmar.

I denna interimsanalys behandlades 15 patienter med en historik av höga koncentrationer av inhibitorer som tidigare inte genomgått ITI-behandling. Elocta gavs i en dos av 200 IE/kg/dag tills tolerans uppnått eller en behandlingstid på upp till maximalt 48 veckor. Vid tidpunkten för denna datainsamling (23:e

januari 2019) hade sex patienter framgångsrikt uppnått tolerans med en mediantid på 11.7 veckor. Åtta patienter i studien behandlas fortfarande med ITI och en patient har misslyckats med sin behandling.

Inga biverkningar relaterade till rFVIII Fc har rapporterats. Ingen patient har avbrutit behandlingen eller har lämnat studien på grund av biverkningar med Elocta.

De vanligaste biverkningarna som observerats med Elocta (>0,5% av patienterna) i andra kliniska studier var led- och muskelsmärta, lätt illamående, huvudvärk och utslag.

Ytterligare data och analyser behövs för att bättre förstå och bekräfta dessa interimdata. Sobi och Sanofi har ytterligare en pågående studie, ReITrate (NCT03103542), som utvärderar Elocta med ITI hos personer med hemofili A med inhibitorer som tidigare misslyckats med ITI-behandling med andra FVIII produkter.

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 förädlat 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 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 och ITI behandling inte är inkluderade i [EU:s produktinformation för Elocta](#).

Om hemofili A

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 och förekommer mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 158 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.ⁱ

Personer med hemofili A upplever omfattande blödningar som kan vara livshotande. 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 med faktorersättningspreparat för att förebygga blödningar för patienter med hemofili.ⁱⁱⁱ

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.

För mer information kontakta:

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

Linda Holmström, Corporate Communications & Investor Relations
0708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

ⁱ World Federation of Hemophilia. Annual Global Survey 2017, publicerad oktober 2018.

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

ⁱⁱ World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Tillgänglig på: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637>. Besökt 4 juli 2019.

ⁱⁱⁱ Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Besökt 4 juli 2019.