

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 5 december 2019

Data som kommer att presenteras på American Society of Hematologys årliga kongress 2019

Vid ASH:s (American Society of Hematology) 61:e årliga kongress i Orlando, 7–10 december, kommer Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO:SOBI) och dess helägda dotterbolag Dova Pharmaceuticals att presentera nya data från studier med avatrombopag för behandling av trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) samt för behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP). Utöver detta kommer finala data från en fas 1/2 studie med upprepad dosering av BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) hos personer med svår hemofili A också att presenteras samt designen av en studie för att utvärdera emapalumab hos vuxna patienter med sekundär hemofagocyterande lymfocytos (HLH).

Resultaten från en studie för att utvärdera avatrombopags relativa kostnadseffektivitet vid behandling av CLD jämfört med trombocyttransfusion eller behandling med lusutrombopag visade att det är en praktisk strategi jämfört med både trombocyttransfusioner och lusutrombopag eftersom det minskar kostnader samt behovet av profylaktiska trombocyttransfusioner.

Resultat från en online-undersökning för att lyfta fram sjukdomsbördan och påverkan för patienter med immuntrombocytopeni visar på komplexiteten av ITP och den påverkan som trötthet, blödningar och behandling har på patienters livskvalitet.

Kompletterande analyser från fas-3 studien med avatrombopag – grundstudie och förlängningsfas – vid behandling av ITP bekräftar avatrombopags långsiktiga behandlingssvar- och effekt vid behandling av ITP med avatrombopag.

Finala data från fas 1/2-studien med BIVV001 som utvärderade säkerhet och farmakokinetik för upprepad dosering kommer att presenteras. BIVV001 är den första von Willebrand-oberoende faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling som är framtagen för att erhålla hög bibehållen faktoraktivitet och förlängt skydd mot blödningar med dosering en gång per vecka för människor med svår hemofili A. BIVV001 utvecklas tillsammans med Sanofi.

Den adaptiva designen av en studie för att utvärdera effekt, säkerhet och farmakokinetik av emapalumab hos vuxna patienter med sekundär HLH kommer att presenteras. Det primära effektmåttet är övergripande behandlingseffekt efter 4 veckor. I den initiala fasen av studien planeras inklusion av 10 vuxna patienter och förväntas starta i slutet av året.

Sobi sponsrar ett oberoende CME-symposium genom ett utbildningsbidrag till Physicians' Education Resource (PER) med titeln "Primär HLH: Diagnos, hantering och behandling i det 21: a århundradet". Symposiet tar upp aktuell information om diagnos, patobiologi och behandling av primär HLH samt en genomgång av de senaste kliniska data samt pågående studier med potential att påverka vården av patienter med HLH.

Sammanfattningar och symposier:

- Cost-effectiveness of avatrombopag for the treatment of thrombocytopenia in patients with chronic liver disease. Sunday, 8 December, 2019. Poster #3454.
- Long-term response rates in patients with chronic immune thrombocytopenia treated with avatrombopag: Additional analyses from a phase 3 study and its extension phase. Sunday, 8 December, 2019. Poster #2356.
- Platelet response to avatrombopag in patients with chronic immune thrombocytopenia: Additional analyses from a phase 3 study and its extension: Saturday, 7 December, 2019. Poster #1071.
- Phase 1 repeat dosing with BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN): The first investigational factor VIII product to break through the von Willebrand factor-imposed half-life ceiling. Monday, 9 December 2019, 10:30 AM ET. Oral presentation #625. BIVV001 is developed in collaboration with Sanofi.
- An adaptive design study to evaluate the efficacy, safety and pharmacokinetics of emapalumab in adult patients with non-primary hemophagocytic lymphohistiocytosis. Sunday, 8 December, 2019. Poster #2333.
- Primary HLH: Diagnosis, Management, and Treatment in the 21st Century. Satellite Symposia. Friday, 6 December, 2019.

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 1300 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. 2018 uppgick Sobis totala intäkter till 9,1 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com

Om BIVV001

BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som syftar till att förlänga blödningsskyddet genom profylaktisk dosering en gång i veckan. BIVV001 bygger på Fc fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandsfaktor och XTEN polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den första behandlingen som kunnat bryta igenom von Willebrandsfaktortaket, vilket tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. BIVV001 beviljades sär-läkemedelstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019.

Om avatrombopag

Doptelet är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO) som administreras tillsammans med föda. Doptelet är godkänt av både amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, och europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, för behandling av trombocytopeni (lågt antal blodplättar) hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå medicinskt ingrepp. I juni 2019 godkände FDA Doptelet för behandling av vuxna patienter med kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) som visat otillräckligt svar på tidigare behandling. Kronisk ITP är en sällsynt autoimmun blödningsrubbnig som kännetecknas av ett lågt antal blodplättar. Sjukdomen drabbar cirka 60 000 vuxna i USA.

Om emapalumab

Emapalumab är en human monoklonal antikropp (mAb) som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN- γ). I USA är emapalumab godkänt för pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, som inte svarar på eller är intoleranta mot konventionell HLH-behandling. Emapalumab är den första och enda läkemedelsbehandlingen som godkänts för primär HLH i USA, ett sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom som oftast uppträder inom det första levnadsåret och snabbt kan bli livshotande om det inte diagnostiseras och behandlas. FDA-godkännandet baseras på data från fas-2/3 kliniska studien (NCT01818492 och NCT02069899). Emapalumab ska administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka ända fram till den hematopoetiska stamcellstransplantation (HSCT).

För mer information kontakta

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
+ 46 733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations
+ 46 708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com