

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 9 december 2019

Kompletterande analyser från fas 3-studie med Doptelet® (avatrombopag) vid behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni styrker långsiktigt behandlingsvar

Vid ASH:s (American Society of Hematology) 61:e årliga kongress i Orlando, 7–10 december presenterade Dova Pharmaceuticals, ett helägt dotterbolag till Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™), kompletterande analyser från fas-3 studien med avatrombopag (AVA) – grundstudie och förlängningsfas – vid behandling av immunologisk trombocytopeni, ITP.

Doptelet® (avatrombopag) är en ny, oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA), godkänd av amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos vuxna patienter som visat otillräckligt svar på tidigare behandling. Doptelet är även godkänt för behandling av trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom som ska genomgå kirurgiska ingrepp. Avatrombopag skiljer sig från andra oralt tillgängliga TPO-RA:s i att det inte har någon varningstext (s.k. boxed warning) för levertoxicitet och kan administreras tillsammans med föda utan särskilda dietrestriktioner. Vidare, interagerar avatrombopag inte med polyvalenta katjoner (kalcium, magnesium, järn, selen, zink, etc.) i livsmedel, mineraltillskott eller antacida, vilket skulle kunna minska den systemiska exponeringen.

Trombocytsvaren var likartade i kärnstudien och uppföljningsfasen. Patienter som svarat varaktigt på behandling upprätthöll en hög nivå av trombocyter och uppnådde fullständigt behandlingsvar i uppföljningsfasen, vilket ger stöd för att patienter som svarat på AVA-behandling med stor sannolikhet kommer att uppvisa bibehållet behandlingsvar under längre behandlingsperioder. Dessutom observerades en konsekvent effekt: de patienter i placebogruppen som gick över till aktiv substans uppvisade samma effekt som de AVA-behandlade patienterna. Patienterna som erhållit AVA-behandling uppnådde betydligt högre trombocytvar samt i högre utsträckning fullständigt behandlingsvar jämfört med de som erhållit placebo.

"Dessa resultat bekräftar avatrombopags långsiktiga behandlingsvar och effekt vid behandling av ITP", säger Kavita Aggarwal, Vice President Medical Affairs på Dova Pharmaceuticals.

Metod och resultat från studien

En tidigare publicerad randomiserad, kontrollerad, dubbelblind fas 3-studie med 32 ITP-patienter som behandlades med AVA och 17 ITP-patienter som behandlades med placebo i 6 månader visar att AVA är överlägset placebo i sammanlagd behandlingstid med trombocyttnivå (PC) $\geq 50\ 000/\mu\text{L}$ (medianvärde 12,4 mot 0,0 veckor, $p < 0,0001$) och med en snabb verkan (65,6 procent uppnådde PC $> 50\ 000/\mu\text{L}$ på dag 8 för AVA mot 0 procent för placebo ($p < 0,0001$). Dessutom visade AVA en gynnsam säkerhetsprofil, de vanligast rapporterade biverkningarna var huvudvärk, trötthet, petekier, blåmärken och övre luftvägsinfektioner. AVA:s långsiktiga behandlingsvar vid ITP har inte tidigare publicerats.

Efter grundstudien i fas 3 hade patienterna möjlighet att fortsätta med AVA-behandling i en öppen

förlängningsfas med följande urvalskriterier: slutförd sexmånaders grundstudie eller att behandlingen avbrutits på grund av bristande effekt i grundstudien. En delgrupp patienter med "varaktiga behandlingsvar" som uppnått trombocytsvar under 6 av de 8 sista veckorna i grundstudien (34,4 procent av de AVA-behandlade patienterna tillhörde denna grupp) analyserades också separat för att undersöka om denna höga svarsfrekvens bibehölls i uppföljningsfasen.

Den genomsnittliga varaktigheten för studiedeltagandet var 23 veckor i grundstudien och 44 (intervall, 8–76) veckor totalt (kärnstudie plus uppföljning). I grundstudien uppnåddes ett trombocytsvar (PC \geq 50 000/ μ L) för 48,6 procent av patienterna på AVA, jämfört med <0.01 procent för PBO. I den öppna förlängningsfasen uppnåddes trombocytsvar vid 44,2 procent av besöken för patienter som fortsatte AVA-behandling och vid 41,4 procent för PBO-patienter som gick över till AVA i uppföljningsfasen. Patienter med "varaktiga behandlingsvar" från kärnstudien (enligt definitionen ovan), uppnådde trombocytsvar vid 96,1 procent av besöken under uppföljningsfasen.

Om Doptelet® (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 ett kirurgiskt 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 blödningsrubbnings sjukdom som kännetecknas av ett lågt antal blodplättar. Sjukdomen drabbar cirka 60 000 vuxna i USA.

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.

För mer information vänligen kontakta:

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

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

ⁱ Jurczak et al., 2018