

PRESS RELEASE

Stockholm, Sweden, 11 december 2019

Första patienten doserad i BIVV001 fas 3 studien XTEND-1 för patienter med svår hemofili A

Sobi™ och Sanofi meddelar i dag att den första patienten har doserats i den oblindade, multicenterstudien med BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) för patienter med svår hemofili A (XTEND-1; NCT04161495). Sobi och Sanofi är utvecklingspartners avseende BIVV001 och XTEND-1 kommer att utvärdera effekt, säkerhet och tolerabilitet hos BIVV001 vid profylaktisk dosering en gång per vecka.

Faktor VIII (FVIII)-substitutionsterapi kan användas vid både förebyggande behandling, akut behandling av blödning samt för blödningskontroll vid kirurgi. Att kunna dosera FVIII substitutionsbehandling en gång per vecka med bibehållet skydd mot blödningar är fortfarande ett kvarstående behov hos personer som lever med svår hemofili A.

De finala resultaten från fas 1 studien med upprepad dosering av BIVV001 presenterades nyligen vid det 61:e årliga mötet av American Society of Hematology (ASH) i december 2019, Orlando, FL USA. Studien utvärderade säkerhet och farmakokinetik vid upprepad dosering av BIVV001 och visade att BIVV001 har potential att bibehålla FVIII-aktivitetsnivåer vid dosering en gång i veckan. Studien indikerade också att BIVV001 är säkert och tolereras väl.

”Baserat på de finala resultaten från fas 1-studien avseende upprepad dosering, ser vi fram emot att nu genomföra fas 3. BIVV001 har potential att ytterligare förbättra behandlingen av personer med hemofili A genom att normalisera FVIII-nivåer under en del av behandlingsintervallet, och vi ser fram emot att driva detta viktiga utvecklingsprogram framåt,” säger Milan Zdravkovic, chef för FoU och Chief Medical Officer på Sobi.

BIVV001 tilldelades Särsläkemedelsstatus av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, och Europeiska kommissionen (EC). Denna klassificering ger incitament för att främja utveckling och kommersialisering av behandlingar mot sällsynta sjukdomar.

”Vi är nöjda över att ha inkluderat den första patienten i den här kliniska fas 3-studien och därmed tagit BIVV001-programmet vidare”, säger Karin Knobe, MD, PhD, Therapeutic Head of Development, Rare Blood Disorders, Sanofi. ”Baserat på de lovande resultaten från fas 1-studierna med BIVV001, ser vi fram emot att förstå den fulla kliniska potentialen för denna faktorerättningsterapi under utveckling, med hopp om att den fortsätter att visa höga bibehållna faktornivåer med längre profylaktiska doseringsintervall, ett behov som idag inte kan tillgodoses för patienter.”

BIVV001 är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som bygger på Fc fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrands faktor (VWF), och XTEN® polypeptider för att förlänga FVIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. BIVV001 är den första von Willebrands-oberoende faktorterapin utvecklad i syfte att förlänga blödningskyddet genom profylaktisk dosering en gång per vecka med höga bibehållna faktornivåer vid hemofili A.

Studiedesign

XTEND-1 är en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie med två parallella armar. Deltagarna i armen med profylax kommer att få en profylaktisk dos BIVV001 en gång per vecka i 52 veckor. Deltagarna i "on-demand"-armen kommer att få BIVV001 vid behov i 26 veckor, följt av ett byte till profylaktisk dos en gång per vecka i ytterligare 26 veckor. XTEND-1 kommer att utvärdera effekt och säkerhet hos ca 150 patienter ≥ 12 år med svår hemofili A.

Om BIVV001

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

Om Sobis och Sanofis samarbete

Sobi och Bioverativ 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 samt utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom på Sobis marknader. Fc-fusionstekniken har använts i mer än 15 år, men Sobi och Sanofi har tillsammans optimerat tekniken och är de första företagen som erbjuder den vid behandling av hemofili. I september 2019 valde Sobi att utnyttja tidig optionsrätt till utveckling och kommersialisering av BIVV001, en VIII-ersättningsterapi under utveckling med potential att ge ett utökat skydd mot blödningar med veckovis behandling för människor med hemofili A.

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 och 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 1300 medarbetare runt om i världen bidrar med har varit avgörande för vår framgång i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. År 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 Communication & Investor Relations
0708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

Phone: +46 8 697 20 00 | www.sobi.com