

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 21 december 2019



FDA tilldelar avatrombopag sär läkemedelsstatus för behandling av cytostatikainducerad trombocytopeni

Dova Pharmaceuticals, Inc., ett helägt dotterbolag till Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) har av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA tilldelats sär läkemedelsstatus, Orphan Drug Designation¹ (ODD), för avatrombopag vid potentiell behandling av cytostatikainducerad trombocytopeni (CIT). En klinisk fas 3-studie med avatrombopag vid CIT pågår.

CIT är en potentiellt allvarlig komplikation vid behandling med cytostatika som resulterar i låga nivåer av blodplättar vilket kan medföra att cytostatikadosen måste reduceras, senareläggas eller modifieras. För cancerpatienter som behandlas med cytostatika i syfte att bota sjukdomen kan förändringar av behandlingen på grund av låga nivåer av blodplättar påverka det långsiktiga utfallet. Varje år drabbas cirka 10 procent av cancerpatienterna i USA av CIT² som kan komma att kräva modifiering av behandlingen och det finns för närvarande inga godkända behandlingar tillgängliga för CIT i USA eller EU.

”Vi är mycket nöjda att FDA tilldelat avatrombopag sär läkemedelsstatus för CIT. Låga nivåer av trombocyter orsakade av cytostatika är ett kritiskt hinder för att patienter ska kunna slutföra sin behandling. För närvarande pågår en fas 3-studie där avatrombopag studeras för detta allvarliga medicinska tillstånd”, säger Milan Zdravkovic, Head of Research and Development and Chief Medical Officer vid Sobi.

Avatrombopag godkänt som Doptelet® i USA och EU för behandling av trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett medicinskt ingrepp, och i USA för behandling av trombocytopeni hos vuxna patienter med diagnosen kronisk immuntrombocytopeni (ITP) som visat otillräckligt svar på tidigare behandling.

Om Orphan Drug Designation

Orphan Drug Designation programmet tilldelar sär läkemedelsstatus för kemiska och biologiska läkemedel som är avsedda för säker och effektiv behandling, diagnos eller förebyggande av sällsynta sjukdomar/syndrom och som drabbar färre än 200 000 personer i USA eller som drabbar fler än 200 000 personer men som inte förväntas ge en avkastning som motsvarar kostnaden för utveckling och marknadsföringen av läkemedlet. Att tilldelas sär läkemedelsstatus påverkar inte de generella regulatoriska krav och processer som

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

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

krävs för att erhålla ett marknadsgodkännande. Särsläkemedelsstatus kvalificerar företaget som utvecklat läkemedlet till ett antal utvecklingsincitament inom ramen för Orphan Drug Act, som ett skatteavdrag på 50 procent av kostnaden för de kliniska studier som görs i USA och sju års marknads exklusivitet efter marknadsgodkännande.¹

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. Avatrombopag är inte godkänt för cytostatiskainducerad trombocytopeni (CIT), en fas 3-studie pågår för närvarande.

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 hemofili, 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, 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

¹ FDA: Developing Products for Rare Diseases & Conditions.

<https://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>

² Weycker D et al. Risk and consequences of chemotherapy-induced thrombocytopenia in US clinical practice. BMC Cancer. 2019;19(1):151.