

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 6 november 2020

Starkt deltagande av Sobi vid American Society of Hematology (ASH) 2020 årliga kongress

Sobi™ kommer att presentera data vid ASH:s 62:a årliga, och detta år virtuella, kongress den 5–8 december. Sobis engagemang för människor som lever med sällsynta sjukdomar avspeglas i tolv kongressbidrag (muntlig presentation och posters), avseende fem olika terapier, som har accepterats av ASH.

Finala data för tidigare obehandlade patienter med hemofili

Finala data avseende effekt och säkerhet för Elocta® (efmoroctocog alfa) och Alprolix® (eftrenonacog alfa) hos tidigare obehandlade patienter (PUPs) med hemofili A respektive B kommer att presenteras, i samarbete med Sanofi.

Muntlig presentation

- #509 Final results of the PUPs A-LONG Study: Evaluating Safety and Efficacy of rFVIII Fc in Previously Untreated Patients with Haemophilia A. Session: 322. Måndag, 7 december 2020, kl. 07:30.

Poster

- #867 Final Results of PUPs B-LONG Study: Evaluating Safety and Efficacy of rFIX Fc in Previously Untreated Patients with Haemophilia B. Session: 322. Lördag, 5 December 2020.

Studiedesignen för en ny klass FVIII-behandling

En översikt över designen för den pågående fas 3-studien (XTEND-1) med BIVV001 kommer att presenteras. BIVV001, en faktorbehandling för hemofili A under klinisk utveckling, utgör en ny klass av FVIII-ersättningsterapi som visat sig generera långvarigt höga faktoraktivitetsnivåer under större delen av veckan vid administrering endast en gång i veckan. BIVV001 utvecklas i samarbete med Sanofi.

Poster

- #856 Evaluating BIVV001, a New Class of Factor VIII Replacement Therapy: A Phase 3 Study (XTEND-1) Design. Session: 321. Lördag, 5 December 2020.

Data avseende behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP)

Effekt- och säkerhetsdata för Doptelet® (avatrombopag) vid behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) kommer också att presenteras.

Posters

- #848 Pharmacokinetic/Pharmacodynamic (PK/PD) Modeling Providing Guidance for Selecting Avatrombopag (AVA) Dose When Switching from Eltrombopag in Chronic Immune Thrombocytopenia (ITP). Session: 311. Lördag, 5 december 2020.
- #835 Consistent Efficacy Demonstrated by Avatrombopag in Immune Thrombocytopenia (ITP) Regardless of the Number of Lines of Prior ITP Treatment. Session: 311. Lördag, 5 december 2020.
- #844 Characterization of Thromboembolic Events Occurring During the Avatrombopag Immune Thrombocytopenia (ITP) Clinical Development Program. Session: 311. Lördag, 5 december 2020.
- #2660 A Phase 3 Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Study Evaluating the Efficacy and Safety of Avatrombopag for the Treatment of Chemotherapy-Induced Thrombocytopenia in Patients with Solid Tumors. Session: 311. Måndag, 7 december 2020.
- #2675 Durability of Initial Platelet Count Response in Patients Treated with Avatrombopag for Immune Thrombocytopenia (ITP): Post-hoc Results from a Phase 3 Clinical Study. Session: 311. Måndag, 7 december 2020.
- #2677 Efficacy Analyses from the Immune Thrombocytopenia (ITP) Clinical Development Program for Avatrombopag: Comparisons with Placebo and Eltrombopag. Session: 311. Måndag, 7 december 2020.

Data för emapalumab redovisas i tre presentationer

Huvudsakliga data från den pivotala fas 2/3-studien kommer att presenteras med analyser som bekräftar studiens primära effektmått, och understödjer flexibel dosering samt en gynnsam säkerhetsprofil vid behandling med emapalumab hos patienter med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos.

Posters

- #3266 Sensitivity Analysis of Overall Response Rate (ORR) with Emapalumab in Children with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis (HLH). Session: 704. Måndag, 7 december 2020.
- #3273 Population Pharmacokinetic Analysis of Emapalumab, a Fully Human, Anti-Interferon Gamma Monoclonal Antibody, in Children with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis. Session: 704. Måndag, 7 december 2020.
- #3278 Safety of Emapalumab in Children with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis: Results of the Primary Analysis of the Pivotal Phase 2/3 Study. Session: 704. Måndag, 7 december 2020.

Apellis presenterar nya data som understödjer effekt och säkerhet för pegcetacoplan vid PNH

Sobis samarbetspartner Apellis kommer att presentera data från åtta kongressbidrag som understödjer effekt och säkerhet för pegcetacoplan, en riktad C3-terapi för behandling av paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH). Ytterligare information finns på investors.apellis.com/news-releases.

Alla kongressbidrag finns tillgängliga på [ASH officiella webbplats](https://ash.org).

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). Elocta tillverkas i en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

Elocta är godkänd för behandling av hemofili A i EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz och marknadsförs av Sobi. I Japan, Kanada och USA är produkten godkänd som ELOCTATE® [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc Fusion Protein] och marknadsförs av Sanofi. Produkten är också godkänd i Australien, Brasilien, Nya Zeeland och andra länder där Sanofi har marknadsföringsrättigheterna.

Liksom för faktorerersättningspreparat 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 inte är inkluderade i EU:s produktinformation för Elocta.

Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa) är en rekombinant faktortterapi som utvecklats för hemofili B och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Det har skapats genom att fusionera faktor IX med Fc-delen från immunoglobulin G subtyp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Alprolix att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen är kvar och har effekt i kroppen (halveringstid). Alprolix tillverkas i en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa. Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B och marknadsförs av Sobi i EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz. Produkten är också godkänd i Australien, Brasilien, Japan, Kanada, Nya Zeeland, USA och andra länder där Sanofi har marknadsföringsrättigheterna.

Allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer har observerats med Alprolix vid behandling av hemofili B, inklusive hos tidigare obehandlade patienter. För mer information, [se fullständig](#).

Om BIVV001

BIVV001 (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som syftar till att förlänga blödningskyddet för personer med hemofili A genom profylaktisk dosering en gång i veckan. BIVV001 bygger på Fc-fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. BIVV001 är den första behandlingen under klinisk utveckling som visats kunna bryta igenom det så kallade von Willebrandfaktortaket som anses 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. BIVV001 är för närvarande under klinisk prövning och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

Om Sobis och Sanofis samarbete

Sobi och Sanofi 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 kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom 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 faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling och som med veckovis dosering har potential att ge personer med hemofili A långvarigt höga faktoraktivitetsnivåer.

Om Doptelet®

Doptelet är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO) som imiterar de biologiska effekterna av trombopoietin (TPO) och stimulerar megakaryocyternas utveckling och mognad, vilket resulterar i ett ökat antal blodplättar. Doptelet® är godkänt av den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) för behandling av trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp och europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp.

Om emapalumab

Emapalumab är en monoklonal antikropp som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN- γ). I USA är emapalumab godkänt för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär hemofagocyterande lymfohistocytos (HLH) med refraktär, återkommande eller progressiv sjukdom eller intolerans mot konventionell HLH-behandling. Primär HLH är 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 studier (NCT01818492 och NCT02069899). Emapalumab ska administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram tills hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT). Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) utvärderar emapalumab för primär HLH. Emapalumab har i september 2020 tilldelats status som säriläkemedel i USA för prevention av transplantatavstötning efter hematopoetisk stamcellstransplantation.

Om Apellis

Apellis Pharmaceuticals, Inc. är ett globalt biofarmaceutiskt företag som genom att främja nydanande vetenskap, kreativitet och medkänsla verkar för att leverera livsförändrande behandlingar. Apellis är en ledare inom riktade C3-terapi och strävar efter att utveckla transformativa behandlingar för ett brett spektrum av funktionsnedsättande sjukdomar som drivs av överdriven aktivering av komplementsystemet, inklusive sjukdomar inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. Mer information finns på www.apellis.com.

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 1 500 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. För 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com

Kontaktpersoner:

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