

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 12 mars 2021

Första patienten doserad i fas 3-studie med avatrombopag vid behandling av ITP hos barn

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO:SOBI) meddelade idag att den första patienten har doserats med avatrombopag, en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) för behandling av immunologisk trombocytopeni (ITP) hos pediatrika patienter. Fas 3-studien, den första att utvärdera avatrombopag för barn, kommer att utvärdera effekt, säkerhet och farmakokinetik av avatrombopag vid behandling av pediatrika patienter med ITP.

"Vi är glada att kunna delge att vi nu påbörjat denna viktiga studie", säger Ravi Rao, Head of Research & Development på Sobi. "Vi hoppas kunna erbjuda barn med ITP ett nytt behandlingsalternativ med potential att minska behandlingsbördan som inskränker deras vardag."

ITP är en autoimmun sjukdom som uppstår när kroppen angriper sina egna blodplättar och förstör dem för snabbt. Hos barn med ITP producerar kroppen blodplättar i normal takt men bryter ner dem för snabbt vilket gör att de bara överlever några timmar istället för som normalt sju till tio dagar. Resultatet är ett lågt antal blodplättar i blodet med symtom som petekier (blodutgjutningar i huden), frekventa blåmärken och blödningar. Spontant tillfrisknande är vanligt i den pediatrika patientpopulationen, men 10–20 procent av barnen utvecklar kronisk ITP¹.

Symtomen hos barn med ITP varierar, men sporadiska och oväntade blödningar tillsammans med ett lågt antal blodplättar kan leda till oro hos både barn och föräldrar. Hos barn med svår ITP har man sett att både skolnärvaro och deltagande i fysiska aktiviteter minskar. Behandlingsbesluten är utmanande för patienter, familjer och vården med tanke på tillgängliga behandlingars administreringssätt och toxicitet, och det finns därför ett betydande medicinskt behov av nya behandlingsalternativ².

Om AVA-PED-301-studien

AVA-PED-301 är en fas-3 studie som utvärderar avatrombopags effekt, säkerhet och farmakokinetik vid behandling av pediatrika patienter med ITP. Pediatrika patienter med trombocytantal $<30 \times 10^9/L$ inkluderas i en tolv veckors dubbelblind fas, följt av en öppen förlängningsfas upp till två år. Totalt kommer 72 pediatrika patienter att rekryteras (i åldrarna ≥ 1 till <18 år) i nio länder. Deltagarna kommer att randomiseras till blindad behandling av antingen avatrombopag eller placebo i förhållandet 3:1. Rekryteringen till studien kommer att ske stegvis i ålderskohorter enligt fallande ålder, med en säkerhets- och farmakokinetisk granskning innan nästa kohort öppnas för rekrytering.

Om Doptelet® (avatrombopag)

Doptelet är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) 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. Doptelet är även godkänt av FDA och EMA för behandling av primär kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos vuxna patienter som visat otillräckligt svar på tidigare behandling (t.ex. kortikosteroider, immunglobuliner). Kronisk ITP är en sällsynt autoimmun blödningsrubbning som kännetecknas av ett lågt antal blodplättar. Incidensen av primär ITP hos vuxna är 3,3/100 000 per år med en prevalens på 9,5 per 100 000 vuxna³.

Om immunologisk trombocytopeni (ITP) hos barn

Immunologisk trombocytopeni (ITP) är en autoimmun sjukdom som kännetecknas av lågt antal blodplättar, vilket ger upphov till blåmärken och ökad blödningsrisk. Incidensen av primär ITP hos barn är 2 till 6 per 100 000 barn per år³. Sjukdomen anses kronisk när symtomen varar längre än tolv månader. Med dagens behandlingar får patienter med ITP ofta återfall och har ett kvarstående behandlingsbehov för att minska risken för kliniskt signifikant blödning.

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 2020 uppgick Sobis totala intäkter till 15,3 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på sobi.com.

För mer information, kontakta

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

Maria Kruse, Corporate Communication & Investor Relations
0767 248 830
maria.kruse@sobi.com

1. Terrell DR, Beebe LA, Vesely SK, Neas BR, Segal JB, George JN. The incidence of immune thrombocytopenic purpura in children and adults: a critical review of published reports. *Am J Hematol*. 2010;85(3):174-180.
2. Nichola Cooper, Douglas B. Cines. The child with immune thrombocytopenia: to treat or not to treat, is that still the question?. *Haematologica* 2019;104(11):2132-2134.
3. Lambert et al. *Blood* 2017