

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 26 mars 2021

Utvärdering av behandlingsalternativ för hemofili A visar fördelaktiga resultat för Elocta® gällande effekt

Den medicinska tidskriften [Journal of Blood Medicine](#) har nyligen publicerat data för att utvärdera behandlingsalternativ vid hemofili A. Tidskriften rapporterade att individanpassad profylax med Elocta® (rFVIII Fc-efmoroctog alfa) är effektivare än Hemlibra™ (emicizumab) administrerat var fjärde vecka, och minst lika effektiv som mer frekventa emicizumab-regimer för att behandla hemofili A. Rapporten baserades på en matchad justerad indirekt jämförelse (MAIC) av viktiga kliniska prövningsdata hos ungdomar och vuxna.

"Vi är medvetna om svårigheterna att genomföra direkt jämförande kliniska studier i sällsynta tillstånd som detta", säger Jennifer Cain-Birkmose, Global Head of Patient Access and Community Engagement på Sobi. "Genom att använda den inom forskningen validerade MAIC-metoden har vi kunnat analysera viktiga data för att bättre förstå behandlingsalternativen, och resultaten tydliggör Eloctas värde för personer med hemofili."

Resultat¹

- Andelen patienter som inte upplevde några blödningar var signifikant högre med rFVIII Fc jämfört med emicizumab administrerat var fjärde vecka (51,2% respektive 29,3%; oddskvot 2,53; 95% konfidensintervall 1,09–5,89); inga signifikanta skillnader noterades vid jämförelse av rFVIII Fc med emicizumab administrerat en gång per vecka eller varannan vecka.²
- Efter matchning observerades inga signifikanta skillnader i genomsnittligt antal blödningar per år (ABR) mellan rFVIII Fc och emicizumab administrerat en gång per vecka, varannan vecka eller var fjärde vecka.

Om MAIC-analysen

Matchad justerad indirekt jämförelse, MAIC, är en forskningsmetod som används av hälsotekniska granskningsorgan över hela världen, inklusive National Institute for Care Excellence, NICE. Analysen syftade till att utvärdera den relativa effekten av de två terapierna vid profylaktisk behandling av hemofili A.

Den indirekta jämförelsen baserades på data från den individualiserade profylaxarmen i den kliniska fas 3-studien A-LONG som utvärderade rFVIII Fc hos 117 personer med hemofili A, och de kliniska studierna HAVEN 3 och HAVEN 4 som utvärderade emicizumab hos 99 respektive 41 personer med hemofili A. Vad gäller MAIC-analyser i allmänhet är det inte alltid möjligt att justera matchningen för samtliga förväxlingsfaktorer på grund av skillnader i studiernas specifika design och inklusionskriterier.

Analysen inkluderar inte studiegruppen med dosering en gång per vecka i A-LONG, eftersom Elocta SmPc inte specifikt nämner dosering en gång i veckan som den rekommenderade dosen.

Om hemofili A

Hemofili A är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt på grund av brist på koagulationsfaktor VIII. Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 födda pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 170 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili A. Personer med hemofili A upplever blödningstillfällen som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående ledskador samt livshotande blödningar.

Profylaktiska injektioner med faktor VIII kan tillfälligt ersätta koagulationsfaktorn som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar. The World Federation of Hemophilia, WHF, rekommenderar profylaktisk behandling eftersom sådan kan förhindra blödningar och leddestruktion.

Om Elocta®

Elocta® (efmoroctocog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktortterapi som utvecklats för hemofili A och som genom Fc-fusionsteknik (rFVIII-Fc) 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, Schweiz och Storbritannien 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.

Som för faktorersättningspreparat 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 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 www.sobi.com.

Kontaktpersoner:

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

¹Klamroth R, Wojciechowski P, Aballéa S, Diamand F, Hakimi Z, Nazir J, Abad-Franch L, Lethagen S, Santagostino E, Tarantino MD. Efficacy of rFVIII-Fc versus Emicizumab for the Treatment of Patients with Hemophilia A without Inhibitors: Matching-Adjusted Indirect Comparison of A-LONG and HAVEN Trials. *J Blood Med*. 2021;12:115-122 <https://doi.org/10.2147/JBM.S288283>

²In the individualised arm of the A-LONG study the rFVIII-Fc dosing was 25–65 IU/kg every 3–5 days. The patients' pharmacokinetic (PK) parameters were used to guide individual dosing adjustments to target a steady-state FVIII trough level of 1–3 IU/dL. Emicizumab was administered as a subcutaneous injection of 3 mg/kg once weekly for the first 4 weeks (loading dose), followed by a maintenance dose of 1.5 mg/kg once weekly, 3 mg/kg every two weeks, or 6 mg/kg every four weeks.