

Sobi presenterar resultat inom sällsynta hematologiska sjukdomar vid ISTH 2021

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) presenterar data vid ISTH 2021, International Society on Thrombosis and Haemostasis 29:e kongress som hålls virtuellt 17–21 juli 2021. Nio kongressbidrag avseende fyra behandlingar har accepterats för presentation under ISTH, vilket speglar Sobis engagemang för människor som lever med sällsynta hematologiska sjukdomar. ISTH är en kongress där experter från hela världen presenterar de senaste vetenskapliga framstegen, utbyter erfarenheter och diskuterar kliniska tillämpningar för att förbättra patientvården inom hematologi.

"Vi ser fram emot att presentera data vid årets virtuella ISTH i syfte att främja vården och tillhandahålla innovativa behandlingar för människor som lever med sällsynta hematologiska sjukdomar", säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "Dessa data visar på vår strävan att öka kunskapen och förståelsen kring sällsynta sjukdomar."

Behandlingsresultat från klinisk vardag med Alprolix® och Elocta®

Data avseende Alprolix (eftrenonacog alfa) och Elocta (efmoroctocog alfa), båda faktorbehandlingar med förlängd halveringstid för personer med hemofili A respektive B, kommer att presenteras. Sobi samarbetar med Sanofi kring utveckling och kommersialisering av Elocta och Alprolix.

Muntlig presentation

- First Interim Analysis of a 24-month French, Multicentre, Prospective, Non-interventional Study Evaluating the Real-world Usage and Effectiveness of the Extended Half-life Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIXFc) in People with Haemophilia B (B-SURE). Session: Hemophilia: Real World Data. Söndag 18 juli (kl. 11.00–12.00 EST). # OC 08.1

E-postrar

- Interim Analysis of the PREVENT Study: Real World Prospective Data from Children and Adolescents with Haemophilia A or B Treated with Recombinant Factor VIII Fc (rFVIII Fc) or Recombinant Factor IX Fc (rFIXFc) Poster #PB0506.
- Final Results of ReITrate - A Prospective Study of Rescue Immune Tolerance Induction (ITI) with Recombinant Factor VIII Fc (rFVIII Fc) in Patients who Have Failed Previous ITI Attempts. Poster #PB0522. I samarbete med Sanofi.
- Real-world Usage of rFIXFc in Sweden: A Report from the Swedish National Registry for Bleeding Disorders. Poster #PB0551.

- B-MORE, Baseline Analysis from a 24-month Prospective, Non-interventional, Multicentre Study on Real-world Effectiveness and Usage of Recombinant Factor IX Fc (rFIXFc) in Haemophilia B. Poster #PB0552.

Data från användning av Doptelet® i klinisk praxis vid behandling av kronisk immunologisk trombocytopeni

Sobi kommer att presentera tre abstracts gällande behandling med Doptelet (avatrombopag) vid kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP), inklusive data från klinisk vardag i USA.

Muntlig presentation

- Durability of Platelet Count Response in Patients Treated with Avatrombopag for Immune Thrombocytopenia (ITP): Post-hoc Results from the Phase 3 Core and Open-label Extension Study. Onsdag 21 juli (kl. 13.00–14.00 EST) Poster #OC 72.4.

E-postrar

- Length of Thrombopoietin Receptor Agonist (TPO-RA) Treatment and Persistence in Immune Thrombocytopenia (ITP): Real World United States Claims Analyses. Poster #PB0819.
- Switching from Eltrombopag or Romiplostim to Avatrombopag in Immune Thrombocytopenia: A Multicenter Study of U.S. ITP Referral Centers. Poster #PB0823.

Effekt på trötthet hos patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH)

Data om effekten på trötthet hos patienter med PNH som behandlas med pegcetacoplan som monoterapi och hos patienter som bytt från eculizumab till pegcetacoplan kommer att presenteras.

Live e-posterpresentation

- Clinically Meaningful and Long-Term Improvements in Fatigue With the C3 Inhibitor Pegcetacoplan In Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Post-Hoc Analyses from the PEGASUS Study Week 48. Tisdag 20 juli (kl. 15.00–16.00 EST) Poster #LPB0118.

Samtliga e-postrar kommer att finnas tillgängliga virtuellt lördagen den 17 juli.

Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktorbehandling för hemofili B med förlängd cirkulation i kroppen genom Fc-fusionsteknik. 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.

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.

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. Sedan september 2019 samarbetar Sobi och Sanofi kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa (BIVV001) en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling med potential att ge ett utökat skydd mot blödningar med veckovis behandling för personer med hemofili A.

Om Doptelet® (avatrombopag)

Doptelet® är en oral trombopoietinreceptoragonist (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 europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, och den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp, samt för behandling av trombocytopeni hos vuxna 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. Incidensen av primär ITP hos vuxna är 3,3/100 000 per år med en prevalens på 9,5 per 100 000 vuxna¹.

Om pegcetacoplan

Pegcetacoplan är en målinriktad läkemedelsbehandling mot C3, det centrala proteinet i komplementsystemet. Det verkar proximalt i komplementsystemet genom att kontrollera både C3b-medierad extravaskulär hemolys och terminal komplementmedierad intravaskulär hemolys. Pegcetacoplan utvärderas i flera kliniska studier inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. I maj 2021 godkändes pegcetacoplan som EMPAVELI™ i USA för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Ansökan om marknadsföringstillstånd för pegcetacoplan vid PNH är under granskning hos den europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA. Pegcetacoplan har också beviljats så kallad fast track-status av FDA för behandling av geografisk atrofi, och har erhållit sär-läkemedelsstatus för behandling av C3 glomerulopati (C3G) från både FDA och EMA. För ytterligare information om kliniska studier med pegcetacoplan, se www.apellis.com/our-science/clinical-trials.

Om Sobi och Apellis samarbete

Sobi och Apellis inledde ett samarbete för att utveckla och kommersialisera systemisk pegcetacoplan i oktober 2020. Bolagen har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, medan Apellis har kommersialiseringrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA och behåller globala kommersialiseringrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA).

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

För mer information, vänligen 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 (Lambert et al. Blood 2017)