

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 4 november 2021

Sobi presenterar nya data vid ASH årliga kongress 2021

Sobi™ kommer att presentera nya data vid American Society of Hematology, ASH:s 63:e årliga kongress den 11–14 december 2021. Sobis fokus att utveckla innovativa behandlingar för personer som lever med sällsynta sjukdomar synliggörs genom studier som spänner över flera områden för sällsynta sjukdomar såsom hemofili, paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP), makrofagaktiverande syndrom (MAS) och hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH).

Under kongressen presenteras för första gången data för pegcetacoplan från fas 3-studien PRINCE som inkluderade behandlingsnaiva vuxna med PNH, vilket innebär att de inte behandlats med en komplementhämmare inom minst tre månader före studiestart.

”Vi ser fram emot att för första gången presentera resultat från PRINCE-studien som utvärderar effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos personer som lever med PNH och är behandlingsnaiva”, säger Ravi Rao, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. ”Vi är också glada över att återigen kunna samarbeta och träffas personligen vid årets kongress.”

Utöver data från PRINCE presenteras även en ny post hoc-analys av pegcetacoplan hos patienter som antingen var behandlingsnaiva eller fortsatt anemiska vid behandling med C5-hämmaren eculizumab.

Inom hemofili A kommer nya data att presenteras för efanesoctocog alfa tidigare benämnd BIVV001. Prövningsläkemedlet efanesoctocog alfa är en faktor VIII-ersättningsterapi för behandling av hemofili A med potential att generera långvarigt höga och nära normala faktornivåer under större delen av veckan med administrering endast en gång i veckan. Efanesoctocog alfa utgör en potentiell ny klass av faktorerersättningsterapi. De nya resultaten som ska presenteras från post hoc-analysen av fas 1/2-studierna bidrar till ökad förståelse för efanesoctocog alfas nya verkningsmekanism för halveringstidsförlängning genom att utvärdera dess farmakokinetiska oberoende av von Willebrand-faktorn. Den kliniska utvecklingen befinner sig för närvarande i fas 3, och sker i samarbete med Sanofi.

Sobi kommer även att presentera nya data från en pilotstudie med Gamifant® (emapalumab), en helt human monoklonal anti-interferon-gamma (IFN γ) antikropp, i patienter med systemisk juvenil idiopatisk artrit (sJIA) som utvecklar MAS. Dessa data visar den patogena roll IFN γ har i MAS/sJIA samt det behandlingsmässiga värdet med neutralisering av IFN γ hos patienter med MAS som inte har svarat på standardbehandling med höga doser av glukokortikoider. Nya exposure-safety analyser från den pivotala studien med Gamifant i patienter med primär HLH kommer också att presenteras.

Viktiga data som presenteras av Sobi under ASH 2021

Haemophilia		
Alprolix® (eftrenonacog alfa)	Prophylaxis with rFIXFc Reduces the Frequency and Delays Time to First Spontaneous Bleed Event in Previously Untreated Patients with Hemophilia B: A Post Hoc Analysis of the PUPs B-LONG Trial.	#498. Oral presentation Session: 322. Sunday, 12 December, Session Time: 4:30 PM - 6:00 PM/Presentation Time: 5:45 PM ET. Joint with Sanofi.
Efanesoctocog alfa (investigational)	Efanesoctocog Alfa Half-Life and Clearance Are Independent of von Willebrand Factor in Severe Hemophilia A: A Post Hoc Analysis from Phase 1/2a Studies.	#1035. Poster presentation Saturday, 11 December, 5:30 PM - 7:30 PM. Joint with Sanofi.
Elocta®/Eloctate® (efmoroctocog alfa)	Retrospective Observational Descriptive Study on the Effectiveness and Usage of Emicizumab and Antihemophilic Factor (recombinant), Fc Fusion Protein in Patients with Hemophilia A in the US.	#3031. Poster presentation Session: 904. Sunday, 12 December, 6:00 PM - 8:00 PM ET. Presented by Sanofi.
Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria		
Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan)	Efficacy and Safety of Pegcetacoplan Treatment in Complement-Inhibitor Naïve Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Results from the Phase 3 PRINCE Study.	#606. Oral presentation Monday, 13 December, 11:45 AM ET, Georgia World Congress Center, Georgia Ballroom 1-3 Joint with Apellis.
	Changes in Hemoglobin Measures Observed in PNH Patients Treated with Both C5 Inhibitors Ravulizumab and Eculizumab: Real-World Evidence from a US-Based EMR Network.	#1112. Poster presentation Saturday, 11 December, 5:30 PM-7:30 PM ET. Joint with Apellis.
	Post Hoc Analysis of the Effect of Pegcetacoplan Treatment of Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria and Baseline Hemoglobin Levels Greater Than 10 Grams per Deciliter.	#2194. Poster presentation Sunday, 12 December, 6:00 PM-8:00 PM ET. Joint with Apellis.
	Evaluation of the Long-Term Safety and Efficacy of Pegcetacoplan Treatment for Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Patients: An Extension Study.	#2175. Poster presentation Sunday, 12 December, 6:00 PM-8:00 PM ET. Joint with Apellis.
	Categorized Hematologic Response to Pegcetacoplan and Correlations with Quality of Life in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Post Hoc Analysis of Data from Phase 1b, Phase 2a, and Phase 3 Trials.	#1104. Poster presentation Saturday, 11 December, 5:30 PM-7:30 PM ET. Presented by Apellis.
Chronic immune thrombocytopenia		
Doptelet® (avatrombopag)	Durability of Platelet Response When Switching from Eltrombopag or Romiplostim to Avatrombopag in Immune Thrombocytopenia (ITP): A Multicenter Study.	#1015. Poster presentation Session: 311. Saturday, 11 December, 5:30 PM - 7:30 PM ET.
	Further Characterization of Thromboembolic Events and Association with Platelet Count Occurring during the Avatrombopag Immune	#2086. Poster presentation Session: 311.

	Thrombocytopenia (ITP) Clinical Development Program.	Sunday, 12 December, 6:00 PM - 8:00 PM ET.
Hemophagocytic lymphohistiocytosis		
Gamifant® (emapalumab)	Safety of Emapalumab in Pediatric Patients with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis (HLH): Relationship to Treatment Exposure.	#2061. Poster presentation. Session: 201. Sunday, 12 December, 6:00 PM - 8:00 PM ET.
Macrophage activation syndrome		
Gamifant® (emapalumab)	Macrophage Activation Syndrome (MAS) in Systemic Juvenile Idiopathic Arthritis (sJIA): Treatment with Emapalumab, an Anti-Interferon Gamma (IFN γ) Monoclonal Antibody.	#2058. Poster presentation. Session: 201. Sunday, 12 December, 6:00 PM - 8:00 PM ET.

Alla abstrakt finns tillgängliga på [ASH:s officiella webbplats](#)

Om Elocta®

Elocta®/Eloctate® (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/Eloctate 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/Eloctate att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen finns kvar och har verkan i kroppen (halveringstid). Elocta är godkänd för behandling av hemofili A i EU inklusive Ryssland, 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 Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktortterapi utvecklad 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 finns kvar och har verkan i kroppen (halveringstid). 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 efanesoctocog alfa (BIVV001)

Efanesoctocog alfa (rFVIII-Fc-VWF-XTEN) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som med en dos i veckan har potential att förlänga blödningsskyddet och ge personer med hemofili A nära normala faktornivåer under större delen av veckan. Efanesoctocog alfa bygger på den innovativa Fc-fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN® polypeptider för att potentiellt förlänga dess cirkulationstid i kroppen. Det är den enda behandling som kunnat bryta igenom von Willebrandsfaktortaket, vilket tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Efanesoctocog alfa beviljades säriläkemedelsstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019. Efanesoctocog alfa är för närvarande under klinisk prövning och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

Om Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan)

Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan) är en målinriktad behandling mot C3 som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3 kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Empaveli är godkänt i USA för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har gett ett positivt utlåtande för Aspaveli vid behandling av vuxna patienter med PNH som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. Det positiva utlåtandet har gått vidare till Europeiska kommissionen för beslut. Behandlingen utvärderas även för flera andra sällsynta sjukdomar inom hematologi, nefrologi och neurologi.

Om PRINCE-studien

PRINCE-studien (NCT04085601) är en 2:1 (pegcetacoplan: standardbehandling) randomiserad, multicenter, öppen, kontrollerad fas-3 studie hos 53 vuxna, behandlingsnaiva patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Det primära målet med studien var att bedöma säkerhet och effekt för pegcetacoplan hos patienter som inte har fått behandling med någon komplementhämmare inom tre månader före screening. Under den randomiserade, kontrollerade perioden om 26 veckor fick patienterna antingen 1 080 mg pegcetacoplan två gånger i veckan eller ordinarie dos standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare. Patienter i standardbehandlingsgruppen hade möjlighet att byta till pegcetacoplan-gruppen om deras hemoglobin minskade med 2 g/dL eller mer från baslinjevärdet.

Om Sobi och Apellis samarbete

Sobi och Apellis samarbetar för att utveckla och kommersialisera systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan utanför USA. Apellis har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA och behåller globala kommersialiseringsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA). Bolagen har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan.

Om Doptelet®

Doptelet är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) som imiterar de biologiska effekterna av trombopoietin (TPO) och stimulerar utveckling och mognad av megakaryocyter, vilket resulterar i ett ökat antal blodplättar. Doptelet är godkänt av både den europeiska och den amerikanska läkemedelsmyndigheten för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett invasivt ingrepp, samt för behandling av trombocytopeni hos vuxna med primär 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 vuxna.¹

Om Gamifant®

Gamifant® (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 lymfohistiocytos (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 den inte diagnostiseras och behandlas. FDA-godkännandet baseras på data från de kliniska fas 2/3-studierna (NCT01818492 och NCT02069899). Emapalumab administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram tills hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT). I september 2020 tilldelades emapalumab sär-läkemedelsstatus i USA för prevention av transplantatavstötning efter hematopoetisk stamcellstransplantation.

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. Sobi har 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

Kontakter

Kontaktuppgifter till Sobis [Investor Relations](#) respektive för Sobis [mediakontakter](#).

Referens

1. (Lambert et al. Blood 2017)

XTEN® är ett registrerat varumärke som tillhör Amunix Pharmaceuticals, Inc