

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 9 mars 2022

Efanesoctocog alfa uppnådde primära och huvudsakliga sekundära effektmått i en pivotal hemofili A-studie, och visade överlägsenhet jämfört med tidigare profylaktisk faktorbehandling

Efanesoctocog alfa administrerad en gång i veckan uppnådde det primära effektmåttet i en fas 3 studie, vilket resulterade i kliniskt meningsfull blödningsprevention (blödningsskydd)

I det huvudsakliga sekundära effektmåttet, visade efanesoctocog alfa överlägsenhet i att förhindra blödningar, och visade en statistisk signifikant och kliniskt meningsfull minskning av antalet årliga blödningar jämfört med tidigare profylaktisk faktor VIII-behandling

Efanesoctocog alfa är en ny faktor VIII-behandling under klinisk utveckling som är utformad för att ge nära normala faktoraktivitetsnivåer under större delen av veckan vid profylaktisk behandling administrerad en gång per vecka

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi®\)](#) (STO:SOBI) och Sanofi (EURONEXT: SAN och NASDAQ: SNY) meddelade idag positiva topline-resultat från den pivotala fas 3-studien XTEND-1. Studien utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa (BIVV001) hos tidigare behandlade patienter från tolv års ålder med svår hemofili A.

Studien mötte det primära effektmåttet, och visade kliniskt meningsfull blödningsprevention hos personer med svår hemofili A som fick efanesoctocog alfa en gång per vecka profylaktiskt under en period på 52 veckor. Medianvärdet av årlig blödningsfrekvens (ABR) var 0 med ett medeltal för ABR på 0,71. Även det huvudsakliga sekundära effektmåttet uppnåddes, där efanesoctocog alfa administrerad en gång i veckan var överlägsen tidigare profylaktisk faktor VIII-behandling, och patienter som behandlats med efanesoctocog alfa visade en statistiskt signifikant minskning av ABR jämfört med sin tidigare profylaktiska faktor VIII-behandling baserat på en intrapatient jämförelse. Efanesoctocog alfa tolererades väl och inga neutraliserande antikroppar mot faktor VIII observerades. De vanligaste förekommande behandlingsrelaterade biverkningarna (>5 procent av alla deltagare) var huvudvärk, ledsmärta, fall och ryggsmärta.

“Vi tror att efanesoctocog alfa administrerat en gång per vecka har potential att utgöra en ny läkemedelsklass av faktor VIII-behandling utformad för att ge en långvarigt hög faktoraktivitet med nära normala nivåer under större delen av veckan,” säger Anders Ullman, MD, PhD, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. “Vi ser fram emot att presentera dessa fas 3 resultat, inklusive resultat avseende fysisk hälsa, smärta och ledhälsa vid kommande medicinska kongresser.”

Hemofili A är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koagulationsförmåga är nedsatt på grund av brist på faktor VIII. Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 nyfödda pojkar per år och mer sällan hos flickor. Personer med hemofili A upplever blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående ledskador, och som i vissa fall kan vara livshotande.

"Trots att det gjorts framsteg i behandlingen av hemofili kvarstår ett stort medicinskt behov. Dessa positiva topline-resultat, som visade väldigt låg årlig blödningsfrekvens stärker potentialen hos efanesoctocog alfa att förändra behandlingen av hemofili A. Vi tror att efanesoctocog alfa administrerad en gång per vecka ger förbättrat skydd med längre varaktighet och minskad behandlingbörd, och vi ser fram emot att arbeta med tillsynsmyndigheter för att så snart som möjligt göra denna behandling tillgänglig för patienter," säger Dietmar Berger, MD, PhD, Global Head of Development på Sanofi.

Resultaten kommer ligga till grund för ansökningar hos tillsynsmyndigheter runt om i världen, med start i år. Ansökan i EU kommer att ske när resultat som förväntas under 2023 från den pågående pediatrika studien XTEND-Kids tillgängliggjorts. Efanesoctocog alfa beviljades sär läkemedelsstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019. FDA beviljade även ett påskyndat förfarande, så kallad Fast Track-status i februari 2021. Efanesoctocog alfa är för närvarande under klinisk prövning och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

Om fas 3-studien XTEND-1

Fas 3-studien XTEND-1 (NCT04161495) är en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som bedömer säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa hos personer som är 12 år eller äldre (n=159) med svår hemofili A och som tidigare behandlats med en faktor VIII-ersättningsterapi. Studien omfattar två parallella behandlingsarmar – en profylaxarm, där studiedeltagare fick 50 IE/kg efanesoctocog alfa per vecka under 52 veckor (arm A), i vilka några inkluderades först efter en observationsperiod med profylaktisk behandling med etablerade faktor VIII-ersättningsterapier, och en vid behovsarm (arm B) där deltagarna fick 50 IE/kg efanesoctocog alfa vid behov i 26 veckor följt av veckovis profylax under ytterligare 26 veckor.

Det primära effektmåttet var årlig blödningsfrekvens (ABR) i arm A. Det huvudsakliga sekundära effektmåttet var en intrapatientjämförelse av ABR vid profylaktisk behandling med efanesoctocog alfa administrerad en gång per vecka, jämfört med ABR vid tidigare profylaktisk behandling för deltagare i arm A som deltog i observationsstudien 242HA201/OBS16221.

Om efanesoctocog alfa (BIVV001)

Efanesoctocog alfa är ett nytt provningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som syftar till att förlänga blödningskyddet för personer med hemofili A genom profylaktisk dosering en gång i veckan. Det bygger på Fc-fusionsteknik genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN^{®1} polypeptider för att förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den första behandlingen under klinisk utveckling som kunnat bryta igenom det så kallade von Willebrandfaktortaket som begränsar halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Efanesoctocog alfa 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[®]. Bolagen samarbetar även kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa, en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling och som med veckovis

¹ XTEN[®] är ett registrerat varumärke som tillhör Amunix Pharmaceuticals, Inc.

dosering har potential att ge personer med hemofili A långvarigt höga faktoraktivitetsnivåer. Sobi äger slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter på sina territorier (huvudsakligen Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknader i Mellanöstern). Sanofi äger slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom Sobis territorier.

Sanofi

Sanofi är ett globalt läkemedelsföretag som genom sin innovation strävar efter att uppnå vetenskapliga mirakel för att förbättra människors liv. Med medarbetare i över 100 länder arbetar de för att transformera läkemedelsbehandling och därmed göra det som tidigare var omöjligt möjligt. De skapar läkemedelsbehandlingar och vacciner som förbättrar och räddar miljontals liv världen över, med hållbarhet och socialt ansvarstagande i fokus. Sanofi är noterat på Euronext: SAN och NASDAQ: SNY.

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 och nischindikationer, och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. 2021 uppgick Sobis totala intäkter till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO:Sobi) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com, [LinkedIn](#) och [YouTube](#).

Denna information är sådan information som Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 9 mars 2022, kl. 07:00 CET.

Thomas Kudsk Larsen
Head of Communication and Investor Relations
thomas.kudsklarsen@sobi.com
+44 7443 191 773

Paula Treutiger
Global Head of Communication
paula.treutiger@sobi.com
+46 73 366 65 99

Kontakter - Sobi

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

Kontakter - Sanofi

Kontaktuppgifter till Sanofis [Investor Relations](#) respektive kontaktuppgifter för [media](#).