

Data från en pivotal studie visar att efanesoctocog alfa administrerad en gång i veckan ger ett överlägset blödningsskydd jämfört med tidigare profylaktisk faktorbehandling

Profylaktisk behandling med prövningsläkemedlet efanesoctocog alfa administrerad en gång i veckan uppnådde det primära effektmåttet att ge kliniskt meningsfullt blödningsskydd hos personer med svår hemofili A

Resultaten visar på efanesoctocog alfas betydelse för att upprätthålla normala eller nära normala faktornivåer och dess potential att transformera profylaktisk behandling för att ge personer med hemofili A ett förbättrat skydd med längre varaktighet

Ytterligare data visade att profylax med efanesoctocog alfa resulterade i statistiskt signifikanta och kliniskt meningsfulla förbättringar av fysisk hälsa, smärtintensitet och ledhälsa hos patienter på tidigare profylaktisk faktor VIII-behandling

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®) (STO:SOBI) och Sanofi (EURONEXT:SAN och NASDAQ:SNY) presenterade idag för första gången, i en late-breaking session vid [International Society on Thrombosis and Haemostasis \(ISTH\) 30:e kongress](#), positiva resultat från den pivotala fas 3-studien XTEND-1 som utvärderar säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa (BIVV001), en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling, hos tidigare behandlade vuxna och ungdomar ≥ 12 år med svår hemofili A.

Studien uppnådde det primära effektmåttet; då efanesoctocog alfa administrerad en gång per vecka visade kliniskt meningsfullt blödningsskydd hos personer med svår hemofili A. Median och medelvärde för årlig blödningsfrekvens (ABR) var 0,00 (kvartilavstånd: 0,00 – 1,04) respektive 0,71 (standardavvikelse: 1,43). Studien uppnådde även det huvudsakliga sekundära effektmåttet och visade överlägset blödningsskydd ($p < 0,0001$) jämfört med tidigare faktor VIII-profylax med en uppskattad minskning av ABR om 77 procent och en genomsnittlig ABR om 0,69 jämfört med 2,96, baserat på en intrapatient-jämförelse ($n=78$). I en undergrupp av de utvärderade patienterna ($n=17$) låg genomsnittliga faktor VIII-nivåer vid baslinjen och vecka 26 kvar inom det normala eller nära det normala intervallet (>40 IE/dL) under större delen av veckan, och på 15 IE/dL vid dag sju, vilket utgör ett ökat faktorskydd för patienter med veckovis administrering.

Annette von Drygalski, MD, PharmD, prövare, professor och director vid Hemophilia and Thrombosis Treatment Center, UC San Diego, USA, sade: "Fas 3-datan visar att efanesoctocog alfa administrerat en gång i veckan har potential att ge ett överlägset blödningsskydd som tack vare varaktigt höga faktornivåer under större delen av veckan leder till betydande förbättringar av fysisk hälsa, smärta och ledhälsa. Dessa tidigare uppnådda resultat gör det potentiellt möjligt för personer med hemofili A att ha högre förväntningar på sin behandling."

Resultaten visar att vuxna och ungdomar som behandlades med efanesoctocog alfa administrerad en gång i veckan uppnådde statistiskt signifikanta och kliniskt meningsfulla förbättringar av sin fysiska hälsa ($p=0,0001$), smärtintensitet ($p=0,0276$) och ledhälsa ($p=0,0101$), baserat på en jämförelse av mätningar vid vecka 52 och baslinjen¹. Dessutom var efanesoctocog alfa effektivt vid behandling av blödningar, inklusive blödningar i leder som drabbats av återkommande blödningar (target joints); 96,7 procent av blödningarna stoppades efter en enskild dos om 50 IE/kg. Efanesoctocog alfa tolererades väl och inga

neutraliserande antikroppar mot faktor VIII observerades. De vanligast förekommande behandlingsrelaterade biverkningarna (>5 procent av alla deltagare) var huvudvärk, ledsmärta, fallolyckor och ryggsmärta.

"Vi anser att en transformation av behandlingsparadigmet vid hemofili A bara kan genomföras om vårdstandarden höjs genom en strävan mot att uppnå normal hemostas", sade Anders Ullman, MD, PhD, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Dessa data åskådliggör efanesoctocog alfas profil med betydelsefulla kliniska variabler och stärker ytterligare dess potential att i förlängningen ge bättre livskvalitet för många som lever med detta tillstånd."

"Vi är fokuserade på att utveckla innovativa läkemedel som utmanar status quo och tillgodoser de medicinska behov som kvarstår för människor som lever med sällsynta tillstånd såsom hemofili. Dessa robusta data belyser efanesoctocog alfas lovande effekt vid dosering en gång i veckan och understryker dess potential som en av de effektivaste behandlingarna vid detta tillstånd", säger Dietmar Berger, MD, PhD, Global Head of Development och Chief Medical Officer på Sanofi.

Amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, tilldelade efanesoctocog alfa genombrottsstatus (Breakthrough Therapy designation, BTB) i maj 2022, påskyndat förfarande, s.k. Fast Track-status i februari 2021, och särsläkemedelsstatus i augusti 2017. I juni 2019 tilldelade även EU-kommissionen efanesoctocog alfa särsläkemedelsstatus. Regulatorisk ansökan om marknadsgodkännande inlämnades till FDA i juni 2022, och i EU kommer ansökan ske efter att resultat från den pågående pediatrika studien XTEND-Kids tillgängliggjorts, vilket förväntas under 2023.

Om fas 3-studien XTEND-1

Fas 3-studien XTEND-1 (NCT04161495) var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa administrerat en gång i veckan 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 A (n=133), där patienter som tidigare fått faktor VIII-profylax fick intravenös profylaxbehandling med efanesoctocog alfa (50 IE/kg) en gång i veckan i 52 veckor, och en vid-behovsarm B (n=26), där patienter som tidigare fått vid-behovsbehandling med faktor VIII fick 26 veckors inledande vid-behovsbehandling med efanesoctocog alfa (50 IE/kg) och sedan övergick till profylaxbehandling en gång i veckan (50 IE/kg) i ytterligare 26 veckor.

Det primära effektmåttet var årlig blödningsfrekvens, ABR, i arm A. Det huvudsakliga sekundära effektmåttet var en intrapatient-jämförelse av ABR vid veckovis profylax med efanesoctocog alfa jämfört med ABR vid tidigare faktor VIII-profylax för deltagare i arm A som deltagit i en tidigare observationsstudie (studie 242HA201/OBS16221).

Om hemofili A

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 på 5 000 födda pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. Personer med hemofili A upplever blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående leddskador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Faktorerersättningsterapi utgör fortfarande hörnstenen i hemofilibehandling och kan användas i många olika behandlingsscenarier.

Om efanesoctocog alfa

Efanesoctocog alfa, tidigare BIVV001, är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII (FVIII) 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® polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den första FVIII behandlingen under klinisk utveckling som kunnat bryta igenom det så kallade von Willebrandfaktortaket som begränsar halveringstiden hos nuvarande FVIII terapier. 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 administrering 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.

Om 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

Referenser

1. Physical health was assessed with the Haem-A-QoL Physical Health score. Pain intensity was assessed using the PROMIS Pain Intensity 3a past 7 days intensity of pain at its worst score. Joint health was assessed using the Hemophilia Joint Health score.

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. Sobis intäkter för 2021 uppgick till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakter Sobi

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).

Kontakter Sanofi

För kontaktuppgifter till Sanofis Media Relations klicka [här](#) och för Investor Relations klicka [här](#).