

FDA beviljar efanesoctocog alfa prioriterad granskning för behandling av personer med hemofili A

FDA:s beslutsdatum för efanesoctocog alfa, en faktor VIII-ersättningsterapi under utveckling är satt till 28 februari 2023

Den prioriterade granskningen baseras på data från den pivotala fas-3 studien XTEND-1

Profylaktisk behandling med efanesoctocog alfa administrerat en gång i veckan ger långvarigt höga faktornivåer i normala till nära normala nivåer under större delen av veckan, vilket utgör ett förbättrat skydd med längre varaktighet

Den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har beviljat prioriterad granskning (Priority Review) av ansökan om marknadsgodkännande (BLA) för efanesoctocog alfa (BIVV001) vid behandling av hemofili A, en sällsynt och livshotande blödningsrubbnings. Datum för FDA:s beslut är satt till 28 februari 2023. Sobi och Sanofi samarbetar kring utvecklingen av efanesoctocog alfa.

"Ersättningsterapi med faktorkoncentrat utgör fortfarande en hörnsten vid hemofilibehandling och innovation inom området har varit nödvändigt för att möta utmaningar relaterade till blödningskydd och betungande behandlingsregimer", säger Steve Pipe, MD, Professor och Director vid Director of Paediatric Haemophilia and Coagulation Disorders Program, University of Michigan, USA. "Om efanesoctocog alfa godkänns kan det resultera i nära normala faktornivåer under större delen av veckan, vilket potentiellt kan utgöra en ny nivå av skydd. Sådana behandlingsfördelar skulle innebära viktiga framsteg för att tillgodose kvarstående medicinska behov hos personer med hemofili A och skulle kunna förändra behandlingslandskapet för profylax."

Ansökan stöds av data från den pivotala fas-3 studien XTEND-1. Resultaten presenterades nyligen vid den 30:e ISTH-kongressen (International Society on Thrombosis and Haemostasis) och visar på kliniskt meningsfull blödningsprevention, samt överlägsenhet jämfört tidigare profylaktisk faktorbehandling baserat på en intrapatient-jämförelse. 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 förändring av behandlingsparadigmet vid hemofili A bara kan genomföras om vårdstandarderna höjs genom att sträva mot normal hemostas", säger Anders Ullman, MD, PhD, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Den prioriterade granskningen ger ytterligare stöd för efanesoctocog alfas potential att i förlängningen ge bättre livskvalitet för många som lever med detta tillstånd."

FDA beviljar prioriterad granskning för läkemedel som har potential att signifikant förbättra behandling, prevention eller diagnos av ett allvarligt tillstånd. Efanesoctocog alfa tilldelades [genombrottsstatus \(Breakthrough Therapy Designation\)](#) av FDA i maj 2022 och är den första faktor VIII-behandling som erhållit detta erkännande. FDA beviljade också efanesoctocog alfa särlläkemedelsstatus i augusti 2017 och påskyndat förfarande, s.k. Fast Track-status, i februari 2021.

Regulatorisk ansökan i EU kommer att ske när resultat från den pågående pediatrika studien XTEND-Kids tillgängliggjorts, vilka båda förväntas ske under 2023. EU-kommissionen tilldelade efanesoctocog alfa särlläkemedelsstatus i juni 2019.

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 ledsador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Faktorsättningsterapi utgör fortfarande hörnstenen i hemofilibehandling och kan användas i många olika behandlingsscenarier.

Om efanesoctocog alfa (BIVV001)

Efanesoctocog alfa är ett nytt prövningsläkemedel 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® polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den första faktor VIII-behandling 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. 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

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.

Kontakt

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.