

Sobi presenterar nya data på ASH årliga kongress 2022

Sobi® kommer att presentera nya data på den 64:e årliga kongressen arrangerad av American Society of Hematology (ASH) den 10-13 december 2022. Sobis fokus på att utveckla innovativa behandlingar för människor som lever med sällsynta sjukdomar synliggörs genom studier som spänner över flera områden för sällsynta sjukdomar såsom hemofili, paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), köldagglutinin sjukdom (CAD), immunologisk trombocytopeni (ITP) och primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (pHLH).

Resultat från en långtidsuppföljning av Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan), som inkluderade vuxna med PNH, kommer att presenteras. Studien visar signifikanta och bestående förbättringar under cirka två år av viktiga sjukdomsmarkörer i en bred population av patienter med PNH.

Inom hemofili A kommer även nya data om efanesoctocog alfa att presenteras. Efanesoctocog alfa tillhör en potentiellt ny terapiklass som undersöks för personer med hemofili A. Behandlingen har potential att öka vårdkvaliteten genom att generera långvarigt höga och nästintill normala faktor-VIII-nivåer under större delen av veckan, med dosering en gång i veckan.

Nya data från REAL-HLH-studien kommer också att presenteras. Detta är den första studien som beskriver de kliniska egenskaperna och behandlingsmönstren i en större kohort av patienter som fått Gamifant® (emapalumab) i en verklighetstrogen klinisk miljö.

Ny information kommer också att presenteras som stödjer betydelsen av Doptelet® (avatrombopag) vid behandling av ITP och som beskriver utformningen av en studie med Aspaveli/Empaveli vid behandling av CAD.

"Den omfattning av data som presenteras på ASH i år visar vårt oavbrutna engagemang för att tillhandahålla innovativa behandlingar för personer som drabbas av sällsynta, ultrasällsynta och livshotande tillstånd", säger Anders Ullman, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi ser fram emot att samarbeta och träffas fysiskt vid årets möte."

ADC Therapeutics presenterar nya data om loncastuximab tesirine

Sobis samarbetspartner ADC Therapeutics kommer att presentera åtta abstracts på ASH. Flera presentationer kommer att belysa hur loncastuximab tesirine kan användas kliniskt vid diffust storcelligt B-cellslymfom. Mer information finns på ir.adctherapeutics.com/press-releases.

Viktiga data som presenteras av Sobi under ASH 2022

Hemofili		
efanesoctocog alfa	Efficacy of Efanesoctocog Alfa on Physical Functioning: Results from the XTEND-1 Phase 3 Clinical Trial in Previously Treated Patients with Hemophilia A	Posterpresentation #2468 söndag, 11 dec, 18.00-20.00 <i>I samarbete med Sanofi</i>
	Efficacy of Efanesoctocog Alfa on Pain in Patients with Hemophilia A: Results from the XTEND-1 Phase 3 Clinical Trial in Previously Treated Patients with Hemophilia A	Posterpresentation #2474 söndag, 11 dec, 18.00-20.00 <i>I samarbete med Sanofi</i>
	A Population Pharmacokinetic (PopPK) Model to Characterize Efanesoctocog Alfa (BIVV001) Factor VIII (FVIII) Activity Levels in Patients with Severe Hemophilia A	Posterpresentation #3788 måndag, 12 dec, 18.00 -20.00 <i>I samarbete med Sanofi</i>
Paroxysmal nokturn hemoglobinuri		
Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan)	Long-Term Safety and Efficacy of Pegcetacoplan Treatment in Adults with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria	Posterpresentation #1248 lördag, 10 dec, 17.30-19.30 <i>I samarbete med Apellis</i>
	Intensive Pegcetacoplan Dosing in the Management of Acute Hemolysis As Part of the 307 Open-Label Extension Study	Posterpresentation #1255 lördag, 10 dec, 17.30-19.30 <i>I samarbete med Apellis</i>
Köldagglutininssjukdom		
Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan)	Trial in Progress: Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Multicenter Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegcetacoplan in Patients with Cold Agglutinin Disease (CASCADE)	Posterpresentation #2333 söndag, 11 dec, 18.00-20.00 <i>I samarbete med Apellis</i>
Immuntrombocytopeni		
Doptelet (avatrombopag)	Comparative Length of Therapy and Persistence Among Thrombopoietin Receptor Agonists (TPO-RA) in Immune Thrombocytopenia (ITP): United States Healthcare Claims and Specialty Pharmacy Prescription Analyses	Posterpresentation #3769 måndag, 12 dec, 18.00-20.00
	Avatrombopag Treatment Response in Patients with Immune Thrombocytopenia: A Real-World Evidence Study	Posterpresentation #4892 måndag, 12 dec, 18.00-20.00

Hemafagocytisk lymfohistiocytos		
Gamifant (emapalumab)	Real-World Demographics, Clinical Characteristics, and Treatment Patterns of Patients Treated with Emapalumab for Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis in the United States: The REAL-HLH Study	Posterpresentation #1086 lördag, 10 dec, 17.30-19.30

Alla abstracts finns tillgängliga på ASH:s officiella webbplats.

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 blödningskyddet 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-behandlingar. Efanesoctocog alfa beviljades sär läkemedelsstatus av amerikanska läkemedelsverket, FDA, i augusti 2017 och av EU-kommissionen i juni 2019. FDA har godkänt att göra en prioriterad granskning den ansökan om licens för biologiska läkemedel (Biologics License Application, BLA) som gjorts för efanesoctocog alfa för behandling av hemofili A. Måldatumet för FDA:s beslut är den 28 februari 2023. Regulatorisk ansökan i EU kommer att ske då data från den pågående studien på barn, XTEND-Kids, finns tillgängliga, vilket förväntas bli under 2023. Efanesoctocog alfa testas för närvarande kliniskt och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet.

Om Sobi och Sanofis samarbete

Sobi och Sanofi samarbetar kring utveckling och kommersialisering av Alprolix® och Elocta®/Eloctate®. Företagen samarbetar också kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa, ett faktor VIII-prövningsläkemedel med potential att ge utökat skydd mot blödningar, och som doseras en gång i veckan, för personer med hemofili A. Sobi har slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Sobis territorium (i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknader i Mellanöstern). Sanofi har slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen exklusive det territorium som Sobi har.

Om Aspaveli®/Empaveli™

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. Det är godkänt i EU och Storbritannien under namnet Aspaveli för behandling av vuxna patienter med PNH som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. I USA och Saudiarabien är det godkänt under namnet Empaveli för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Empaveli är också godkänt i Australien för behandling av vuxna patienter med PNH som fått otillräckliga svar av, eller inte tål, C5-hämmare.

Om Sobi och Apellis samarbete

Sobi och Apellis samarbetar för att utveckla och kommersialisera systemisk Aspaveli/Empaveli. Sobi har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk Aspaveli/Empaveli utanför USA. Apellis har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk Empaveli i USA. Företagen har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk Aspaveli/Empaveli.

Om Doptelet®

Doptelet (avatrombopag) är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) som imiterar de biologiska effekterna av trombopoietin (TPO) och stimulerar utveckling och mognad av megakaryocyter, vilket ger 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 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 Gamifant godkänt för behandling av vuxna och barn (från födseln) 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). Gamifant administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram tills hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT).

Om loncastuximab tesirine

Loncastuximab tesirine (varumärket ZYNLONTA® i USA) är ett CD19-riktat antikropps-konjugat (ADC). När loncastuximab tesirine/ZYNLONTA binds till en CD19-uttryckande cell införlivas det av cellen, där enzymer frigör pyrrolbenzodiazepin (PBD). PBD binder till minor groove i DNA med liten förändring så att den förblir mindre synlig för reparationsmekanismer i DNA. I slutändan resulterar detta i att cellcykeln avslutas och att tumörcellen dör.

Den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) har godkänt ZYNLONTA (loncastuximab tesirine-lpyl) för behandling av vuxna patienter som återinsjuknat eller blivit behandlingsresistenta (r/r) vid storcelligt B-cellslymfom efter två eller flera linjers systemisk behandling, inklusive DLBCL som inte specificeras på annat sätt, DLBCL som härrör från lågmaligna lymfom, samt högmaligna B-cellslymfom. LOTIS-2-studien omfattade en bred grupp av kraftigt förbehandlade patienter (median tre tidigare behandlingslinjer) med svårbehandlad sjukdom, inklusive patienter som inte svarade på första linjens behandling, patienter med resistens mot samtliga tidigare behandlingslinjer, patienter med "double hit" eller "triple hit" högmaligna B-cellslymfom samt patienter som genomgått stamcellstransplantation och CAR-T-behandling innan behandling med ZYNLONTA. Indikationen är villkorligt godkänd av FDA baserat på total svarsfrekvens och fortsatt godkännande för denna indikation är avhängigt en studie som bekräftar och beskriver klinisk nytta.

ZYNLONTA utvärderas också som ett behandlingsalternativ i kombinationsstudier vid andra B-cells maligniteter samt i tidigare behandlingslinjer.

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 information om Sobi finns på sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakt

För kontaktinformation till Sobis Investor Relations-team, klicka här. För Sobis mediakontakter, klicka här.