

EMA validerar ansökan om marknadsgodkännande för efanesoctocog alfa vid behandling av hemofili A.

Sobi meddelade idag att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har godtagit och validerat en ansökan om marknadsgodkännande för efanesoctocog alfa, en ny klass av faktorkoncentrat med långvarigt höga faktor VIII-nivåer för behandling av personer i alla åldrar med hemofili A. Ansökan baseras på data från den pivotala [fas 3-studien XTEND-1](#) utförd på vuxna och ungdomar samt den pediatrika studien [XTEND-Kids utförd på barn under tolv år](#). Efanesoctocog alfa godkändes av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA under handelsnamnet ALTUVIIIIO tidigare i år.

"Sobi strävar efter att förbättra vården för patienter med sällsynta sjukdomar runt om i världen", säger Tony Hoos, MD, PhD, Head of Research & Development och Chief Medical Officer. "Dagens tillkännagivande kan bli ett avgörande steg mot att förbättra livskvaliteten för personer med hemofili A genom ett potentiellt nytt behandlingsalternativ. Vi ser fram emot att samarbeta med EMA under granskningen av ansökan för att personer som lever med hemofili A i Europa snarast möjligt ska kunna få tillgång till denna behandling."

Hemofili A är en sällsynt, ärftlig blödningsrubbning där 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 kan drabbas av blödningar, som i vissa fall kan vara livshotande, med akut och kronisk smärta samt bestående och funktionsnedsättande ledsador vilket påverkar livskvaliteten negativt. Trots framsteg i behandlingen av hemofili under de senaste åren kvarstår ett stort medicinskt behov som kräver ytterligare förbättring av vårdstandarden.

Om XTEND-1

XTEND-1 var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie med två parallella armar. Studiedeltagarna i profylaxarmen fick en profylaktisk dos efanesoctocog alfa per vecka i 52 veckor. Deltagarna i vid-behovsarmen fick efanesoctocog alfa vid behov i 26 veckor följt av byte till profylaktisk dos en gång i veckan i ytterligare 26 veckor. XTEND-1 utvärderade effekt, säkerhet och farmakokinetik hos 159 tidigare behandlade patienter ≥ 12 år med svår hemofili A.

Om XTEND-Kids

XTEND-Kids var en öppen, icke-randomiserad, enarmad interventionsstudie. Studiedeltagarna fick en profylaktisk dos efanesoctocog alfa per vecka i 52 veckor. XTEND-Kids utvärderade effekt, säkerhet och farmakokinetik hos 74 tidigare behandlade patienter < 12 år med svår hemofili A.

Om efanesoctocog alfa

Efanesoctocog alfa [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-eh1] (tidigare benämnt BIVV001) är ett nytt prövningsläkemedel med rekombinant faktor VIII som med en dos i veckan har potential att förbättra blödningsskyddet och ge personer med hemofili A nära normala faktornivåer under en större del av veckan. Efanesoctocog alfa bygger på Fc fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN® polypeptider för att förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den enda behandling som kunnat bryta igenom von Willebrandsfaktortaket, vilket begränsar halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Läkemedlet är godkänt i USA under handelsnamnet ALTUVIIIIO [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-eh1] sedan februari 2023 och marknadsförs av Sanofi. Det är inte godkänt på någon marknad utanför USA.

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, benämnt ALTUVIIIIO i USA. Sobi har de slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheterna inom Sobis marknader (huvudsakligen Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknaderna 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. Sanofi 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 och nedbrytande sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Sobis intäkter för 2022 uppgick till 18,8 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på www.sobi.com, [LinkedIn](#) och [YouTube](#).

Kontakt

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