

Sobi presenterar nya data på ASH-kongressen 2023

Sobi® kommer att presentera nya data vid American Society of Hematology, ASH:s 65:e årliga kongress som hålls i San Diego, USA, den 9–12 december 2023. Presentationerna omfattar ett flertal analyser av patienter med tillstånden hemofili A, paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), immunologisk trombocytopeni (ITP), relapserande eller refraktärt diffust storcelligt B-cellslymfom, myelofibros och hemofagocyterande lymfohistiocytos.

"Vi är stolta över vårt ökade engagemang för personer som drabbas av sällsynta sjukdomar, och glädjer oss över att kunna presentera forskning som omfattar en rad sällsynta och svåra tillstånd vid årets ASH-kongress. Vi fortsätter vårt framgångsrika arbete med att höja standarden på vården för hemofili A med två muntliga presentationer. Dessutom uppmärksammar vi vårt inträde på myelofibrosområdet med flera posterpresentationer", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi ser fram emot att samarbeta och mötas personligen vid årets möte."

Viktiga data som presenteras på ASH 2023

Hemofili A		
Efanesoctocog Alfa	Once-Weekly Efanesoctocog Alfa Prophylaxis Provided High Sustained Factor VIII Activity Levels, Independent of Blood Group, in Children <12 Years of Age with Severe Hemophilia A	Muntlig presentation. #506 Session: 322 Söndag 10 december 2023, kl. 12.00–13.30 Presentation: kl. 12.15
	Experiences with Efanesoctocog Alfa: Exit Interviews with Caregivers of Previously Treated Patients with Hemophilia A from the XTEND-Kids Phase 3 Clinical Trial	Muntlig presentation. #507 Session: 322 Söndag 10 december 2023, kl. 12.00–13.30 Presentation: kl. 12.30
	Experience with Accelerometer Activity Tracking in Patients with Hemophilia A: Results from the XTEND-1 Efanesoctocog Alfa Phase 3 Trial	Posterpresentation. #2360 Session: 904 Lördag 9 december 2023, kl. 17.30–19.30
	Treatment of Bleeding Episodes with Efanesoctocog Alfa in Children with Severe Hemophilia A in the XTEND-Kids Phase 3 Study	Posterpresentation. #3993 Session: 322 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00

Hemofili A		
	Real-World Unmet Needs in Patients with Hemophilia A Without Inhibitors in the US: Results from the Picnic Health Database	Posterpresentation. #2380 Session: 904 Lördag 9 december 2023, kl. 17.30–19.30
	Investigating the Relationship between Endogenous Factor VIII Levels and Annual Bleed Rates and Health-Related Quality of Life in Patients with Hemophilia A Not Treated with Factor VIII Prophylaxis	Posterpresentation. #5125 Session: 904 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00
Paroxysmal nokturn hemoglobinuri		
Empaveli® (pegcetacoplan)	Efficacy and Safety Is Maintained in Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Receiving Pegcetacoplan for up to 3 Years	Muntlig presentation. #574 Session: 508 Söndag 10 december 2023, kl. 16.30–18.00 Presentation: kl. 17.15
Immunologisk trombocytopeni		
Doptelet® (avatrombopag)	Interim Baseline Characteristics of Adult Patients with Immune Thrombocytopenia Enrolled in the Observational Multicenter Phase 4 ADOPT Study to Evaluate the Use and Effectiveness of Avatrombopag	Posterpresentation. #1226 Session: 311 Lördag 9 december 2023, kl. 17.30–19.30
	Interim Analysis of Platelet Response in a Prospective Phase 4 Study in Adult Immune Thrombocytopenia (ITP) Subjects after Switching from Eltrombopag (ELT) or Romiplostim (ROM) to Avatrombopag (AVA)	Posterpresentation. #2577 Session: 311, Söndag 10 december 2023, kl. 18.00–20.00
	Interim Analysis of Treatment satisfaction from a Prospective Phase 4 Study in Adult Immune Thrombocytopenia (ITP) Subjects after Switching from Eltrombopag or Romiplostim to Avatrombopag	Posterpresentation. #3954 Session: 311 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00
	Real-World Treatment Patterns and Outcomes in Patients with Immune Thrombocytopenia Treated with Avatrombopag in the United States: REAL-AVA 2.0 Study Design	Posterpresentation. #5127 Session: 904 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00
Relapserande/refraktärt diffust storcelligt B-cellslymfom		
Zynlonta® (loncastuximab tesirine)	Early and Sustained Circulating Tumor DNA Response Dynamics after Loncastuximab Tesirine for Relapsed/Refractory Diffuse Large B-Cell Lymphoma	Posterpresentation. #3133 Session: 627 Söndag 10 december 2023, kl. 18.00–20.00

Myelofibros		
Vonjo® (pacritinib)	Impact of Symptom Benefit and Transfusion Response on Survival in Myelofibrosis Patients Treated with Pacritinib: PERSIST-2 Landmark Survival Analysis	Posterpresentation. #3207 Session: 634 Söndag 10 december 2023, kl. 18:00–20:00
	Platelet Response in Pacritinib-Treated Patients with Cytopenic Myelofibrosis: a Retrospective Analysis of PERSIST-2 and PAC203 Studies	Posterpresentation. #4554 Session: 634 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00
	Retrospective Analysis of the Relationship between Transfusion Independence and Bone Marrow Fibrosis Reduction in Patients with Myelofibrosis Treated with Pacritinib Versus Ruxolitinib	Posterpresentation. #4566 Session: 634 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00
	An Analysis of Ruxolitinib Dosing for Myelofibrosis in Real-World Practice	Posterpresentation. #5186 Session: 906 Måndag 11 december 2023, kl. 18:00–20:00
Hemofagocyterande lymfohistiocytos		
Gamifant® (emapalumab)	Emapalumab, a Fully Human Anti-Interferon Gamma Monoclonal Antibody, in Pediatric Patients With Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis: Long-Term Follow-up of a Phase 2/3 Study	Posterpresentation. #1174 Session: 203 Lördag 9 december 2023, kl. 17.30–19.30
	Real-World Treatment Patterns and Outcomes Among Patients with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis with and without Infection at Diagnosis and Treated with Emapalumab: The REAL-HLH Study	Posterpresentation. #2534 Session: 201. Söndag 10 december 2023, kl. 18:00–20:00
	Real-World Treatment Patterns and Outcomes Among Patients with Secondary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis Treated with Emapalumab in the United States: The REAL-HLH Study	Posterpresentation. #3909 Session: 201 Måndag 11 december 2023, kl. 18.00–20.00

Om efanesoctocog alfa

Efanesoctocog alfa [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein] (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-ehrl] sedan februari 2023 och marknadsförs av Sanofi.

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 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.

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. Pegcetacoplan är godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som EMPAVELI®/Aspaveli® i USA, EU och andra marknader världen över. Aspaveli/Empaveli utvärderas även för flera andra sällsynta sjukdomar inom hematologi och nefrologi.

Om Sobis och Apellis samarbete

Sobi och Apellis har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, och Apellis har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA samt globala kommersialiseringsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA).

Om Doptelet®

Doptelet (avatrombopag) är en oral trombopoetinreceptoragonist (TPO-RA) som imiterar de biologiska effekterna av trombopoetin (TPO) och stimulerar megakaryocyternas utveckling och mognad, vilket resulterar i ett ökat antal blodplättar. Doptelet är godkänt i fler än 30 länder, inklusive EU och USA, för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt 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 vuxna¹.

Om Zynlonta®

Zynlonta (loncastuximab tesirine) är ett CD19-riktat antikropps-konjugat. När Zynlonta binds till en CD19-uttryckande cell införlivas det av cellen, där enzymer frigör pyrrolbenzodiazepin. Pyrrolbenzodiazepinet binder till minor groove i DNA med liten förändring så att den förblir mindre synlig för DNA-reparationsmekanismer. I slutändan resulterar detta i att cellcykeln avslutas och att tumörcellen dör. Zynlonta® är ett registrerat varumärke som tillhör ADC Therapeutics SA. Zynlonta är för närvarande godkänt i USA, Europeiska unionen och Storbritannien för behandling av vuxna patienter med relapserande eller refraktärt diffust storcelligt B-cellslymfom (DLBCL) och högradigt B-cellslymfom (HGBL), efter två eller flera linjer av systemisk behandling.

Om ADC Therapeutics

ADC Therapeutics (NYSE: ADCT) är ett kommersiellt biotechbolag som förbättrar livet för personer som drabbats av cancer med nästa generations riktade antikropps-konjugat (ADC). Bolaget utvecklar sin patenterade PBD-baserade ADC-teknologi för att förändra behandlingsregimer för patienter med hematologiska maligniteter och solida tumörer. ADC Therapeutics är baserat i Lausanne (Biopôle), Schweiz och har verksamhet i London, San Francisco Bay Area och New Jersey. För mer information, besök adctherapeutics.com eller följ dem på Twitter och LinkedIn.

1. Lambert et al. Blood 2017.

Om Vonjo®

VONJO är godkänt för behandling av vuxna med primär eller sekundär myelofibros med intermediär eller hög risk (post-polycytemia vera eller postessentiell trombocytemi) med ett trombocytantal under $50 \times 109/L$. Denna indikation är godkänd enligt FDA:s villkorade godkännande baserat på minskning av mjältvolym. Fortsatt godkännande för denna indikation är beroende av en bekräftande studie för verifiering och förtydligande av klinisk nytta. CTI genomför fas 3-studien PACIFICA med VONJO hos patienter med myelofibros och svår trombocytopeni för att uppfylla dessa krav efter marknadsintroduktionen. Mer information finns på www.ctibiopharma.com.

Om Gamifant®

Gamifant® (emapalumab) är en monoklonal anti-interferongamma (IFN γ) antikropp som binder till och neutraliserar IFN γ . I USA är Gamifant godkänt för behandling av vuxna och pediatrika patienter (inklusive nyfödda barn) 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 det 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).

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 2022 uppgick till 18,8 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakt

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