

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 25 mars 2024

Sobi meddelar positiva resultat från fas 3-studie med Doptelet® för behandling av barn och ungdomar med ITP

- *Det primära effektmåttet uppnåddes, vilket bekräftar effekt och säkerhet för Doptelet® (avatrombopag) vid behandling av barn och ungdomar med ITP*
- *Avatrombopag har brett internationellt godkännande för behandling av vuxna med ITP; AVA-PED-301-data kommer att stödja globala registreringsansökningar för att utvidga behandlingen till barn och ungdomar med ITP*

Sobi® tillkännagav idag positiva resultat från studien AVA-PED-301 ([NCT04516967](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04516967)) som utvärderade effekt och säkerhet hos avatrombopag (Doptelet) för behandling av pediatrika patienter med immunologisk trombocytopeni (ITP) sedan minst 6 månader. Studien inkluderade 75 patienter mellan 1 och <18 år och det primära effektmåttet, varaktigt trombocyt svar (6 av 8 veckovisa trombocytvärden $\geq 50 \times 10^9/L$ utan räddningsterapi under veckorna 5–12), uppnåddes hos 28% av patienterna som fick avatrombopag jämfört med 0% av patienterna som fick placebo ($p=0,0077$, 95 % KI 15,8–39,7).

Det huvudsakliga sekundära effektmåttet, två trombocytvärden i rad om $\geq 50 \times 10^9/L$, uppnåddes hos 81,5% av patienterna som fick avatrombopag jämfört med 0% av patienterna som fick placebo ($p= <0,0001$, 95% KI 71,1–91,8). Ett trombocyt svar dag 8 observerades hos 56% av patienterna som fick avatrombopag och hos 0% av patienterna som fick placebo ($p= <0,0001$), medan användning av räddningsterapi förekom hos 7% av patienterna som fick avatrombopag och hos 43% av de som fick placebo ($p=0,0008$). De fullständiga studieresultaten, som kommer att presenteras vid en kommande medicinsk konferens, bekräftar att avatrombopag kan bli en effektiv och säker oral behandling för patienter mellan 1 och <18 år med persisterande och kronisk ITP och som svarat otillräckligt på tidigare behandlingar.

"Baserat på dessa resultat anser jag att avatrombopag kan erbjuda ett välbehövligt oralt behandlingsalternativ för ungdomar och barn med persisterande och kronisk ITP", säger Rachael Grace, MD, MMSc, pediatrik hematolog och chef för klinisk forskning inom hematologi vid Dana-Farber/Boston Children's Cancer and Blood Disorders Center, och huvudprövare för AVA-PED-301-studien. "I denna pediatrika population som lever med IPT är det en fördel att de inte behöver särskilda kostrestriktioner eller kronisk immunsuppression vid behandling med avatrombopag."

Immunologisk trombocytopeni (ITP) är en autoimmun sjukdom som kännetecknas av ett lågt antal trombocyter, vilket ger upphov till blåmärken och ökad blödningsrisk. Uppskattningsvis lever upp till 100 personer på miljonen med ITP. Hos barn förekommer ITP hos 5 på 100 000 barn per år¹. Det finns för närvarande inget tillgängligt botemedel. Med dagens behandlingar

får patienter med ITP ofta återfall och har ett kvarstående behov av behandling för att minska risken för kliniskt signifikant blödning.

"Med tanke på utmaningarna med att administrera behandlingen, och därtill varierande och övergående behandlingssvar, frekventa återfall och toxiciteter förknippade med befintliga behandlingar, finns det idag ett ouppfyllt medicinskt behov av att behandla ITP hos barn och ungdomar", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development and Medical Affairs, och Chief Medical Officer på Sobi. "I linje med Sobis uppdrag att ge människor med sällsynta och svåra sjukdomar ett bättre liv kommer vi att fortsätta att verka för att förbättra vården och möta de särskilda utmaningar som yngre patienter med ITP och deras vårdgivare står inför."

Referens

1. Fogarty PF, Segal JB. [The epidemiology of immune thrombocytopenic purpura](#). Curr Opin Hematol. 2007;14(5):515-519. doi:10.1097/MOH.0b013e3282ab98c7

Om AVA-PED-301

AVA-PED-301 var en global, randomiserad fas-3 studie som utvärderade effekt, säkerhet och farmakokinetik hos Doptelet (avatrombopag) vid behandling av pediatrika patienter med ITP. Pediatrika patienter med trombocytantal $<30 \times 10^9/L$ deltog i en 12 veckors dubbelblind fas följt av en öppen förlängningsfas om upp till 2 år. Studien omfattade totalt 75 pediatrika patienter (i åldern ≥ 1 till <18 år) i 9 länder. Deltagarna randomiserades till blindad behandling med antingen Doptelet eller placebo i förhållandet 3:1. Rekryteringen till studien skedde stegvis i ålderskohorter i fallande ålder, och med en säkerhets- och farmakokinetisk granskning innan nästa kohort öppnades för rekrytering.

Om Doptelet® (avatrombopag)

Doptelet 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 av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp och av den europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp. I juni 2019 godkändes Doptelet av FDA för behandling av trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) som svarat otillräckligt på en tidigare behandling och 2021 godkändes Doptelet av EMA för behandling av primär kronisk ITP hos vuxna patienter som är resistent mot andra behandlingar (t.ex. kortikosteroider, immunglobuliner). 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.

Sobi®

Sobi® är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta och svåra sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 800 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Sobis intäkter för 2023 uppgick till 22,1 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com och LinkedIn.

Kontakter

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