

Sobi® får positivt CHMP-utlåtande som rekommenderar godkännande av efanesoctocog alfa för behandling en gång i veckan av hemofili A

Sobi® meddelade idag att den Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) har gett ett positivt utlåtande och rekommenderar ett godkännande av efanesoctocog alfa för behandling och prevention av blödningar samt perioperativ profylax vid hemofili A. Efanesoctocog alfa är en faktorsättningsterapi som med en dos i veckan ger långvarigt höga faktor VIII-nivåer för behandling av patienter i alla åldrar och alla svårighetsgrader av hemofili.

Efanesoctocog alfa ger barn, ungdomar och vuxna normala till nästan normala faktor VIII-aktivitetsnivåer (över 40 %) under en betydande del av veckan med dosering en gång i veckan, och når dalvärden på 15 % hos vuxna och ungdomar på dag 7. Detta innebär ett väsentligt förbättrat skydd för blödningar jämfört med befintlig faktor VIII-profylax. Det positiva utlåtandet från CHMP överlämnas nu till Europeiska kommissionen för beslut om marknadsgodkännande.

"Dagens tillkännagivande markerar en viktig milstolpe inom hemofilivården och för oss ett steg närmare att göra efanesoctocog alfa tillgänglig för patienter i EU. Efanesoctocog alfa upprätthåller höga nivåer av faktor VIII-aktivitet under hela veckan, vilket gör att patienter kan känna sig trygga med det skydd den ger för att förebygga blödningar, hantera kirurgiska ingrepp och stoppa blödningar. Med dess potential att avsevärt förbättra behandlingsresultat och livskvalitet för personer som lever med hemofili A är vi entusiastiska över den positiva inverkan behandlingen kan komma att få runt om i världen", säger Lydia Abad-Franch, Head of RDMA och Chief Medical Officer på Sobi.

Hemofili A är ett sällsynt, livslångt genetiskt tillstånd där kroppen inte producerar tillräckligt med normalt fungerande faktor VIII – ett protein som är nödvändigt för blodets koagulation. Tillståndet förekommer hos ungefär en på 5 000 födda män per år och mer sällan hos kvinnor. Personer med hemofili A kan drabbas av blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående leddskador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Tack vare betydande framsteg i tillgängliga behandlingsalternativ har kliniska resultat förbättrats över tid, men viktiga kliniska och sociala behov kvarstår alltjämt för de som lever med tillståndet.

Rekommendationen från CHMP baseras på resultaten från de pivotala fas 3-studierna som utvärderade effekt och säkerhet hos efanesoctocog alfa: XTEND-1 med vuxna och ungdomar, och XTEND-Kids med barn. Dessa studier visade att profylax med efanesoctocog alfa en gång i veckan (50 IE/kg) gav ett signifikant blödningsskydd (medelvärde ABR <1 och 80–88 % patienter fria från spontana blödningar) hos personer med svår hemofili A oavsett ålder. Resultaten visade också en väsentlig förbättring av ledhälsa, fysisk hälsa, smärta och allmän livskvalitet vid en jämförelse av värdena vid vecka 52 med värdena innan behandling sattes in.¹ Ingen utveckling av faktor VIII-inhibitorer observerades i det kliniska programmet med efanesoctocog alfa.

Efanesoctocog alpha erhöll sitt första marknadsgodkännande av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA i februari 2023. Tidigare, i maj 2022, hade efanesoctocog alpha som första faktor VIII-terapi beviljats Breakthrough Therapy-status av FDA – samt i februari 2021 s.k. Fast Track-status och 2017 sällsynt läkemedelsstatus.

Referens

1. von Drygalski. A., Chowdary. P., Kulkarni. R., et al. Efanesoctocog Alfa Prophylaxis for Patients with Severe Haemophilia A. N Engl J Med 2023; 388:310-318.

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 veckovis profylax 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] (tidigare benämnt BIVV001) är en ny läkemedelsklass av 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 och marknadsförs som ALTUVIIIIO™ [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehtl] av Sanofi i USA, Japan och Taiwan. EU-kommissionen tilldelade efanesoctocog alfa sär-läkemedelsstatus i juni 2019.

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.

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](#).