

Sobi presenterar nya data från sin hematologiportfölj på EHA-kongressen 2024

Sobi® kommer att presentera data som understryker bolagets engagemang inom sällsynta och svåra hematologiska sjukdomar vid EHA:s (European Haematology Association) hybridkongress i Madrid den 13–16 juni. Vid kongressen kommer Sobi presentera de senaste framstegen inom behandling av immunologisk trombocytopeni (ITP), myelofibros, hemofili A och paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH).

"Vi ser fram emot att dela med oss av nya data inom flera av Sobis terapiområden vid årets EHA-kongress", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Vårt fortlöpande arbete med att förbättra vården och möta de särskilda utmaningar som unga patienter med ITP står inför kommer att belysas med primära data från den pediatrika fas 3-studien med avatrombopag. Ytterligare presentationer kommer att redogöra för våra framsteg inom behandling av ett brett spektrum av hematologiska tillstånd. Vi fortsätter vår strävan att höja vårdstandarden för sällsynta hematologiska sjukdomar och ser framemot att träffa och samarbeta med kollegor vid detta viktiga event."

Viktiga data som presenteras på EHA 2024

Immunologisk trombocytopeni		
Doptelet (avatrombopag)	A Phase 3, Randomised, Double-Blind, Placebo-controlled Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Avatrombopag for the Treatment of Children with Chronic Immune Thrombocytopenia (AVA-PED-301)	Muntlig presentation. #S318 Session: s416 Fredag 14 juni, kl. 14:45–16:00 CEST, Hall Mallo
	Phase 4 ADOPT Study: Interim Analysis of Efficacy and Safety Results of Avatrombopag Treatment in Adult Patients with Immune Thrombocytopenia	e-Poster. #P2235 Fredag 14 juni, kl. 09:00 CEST
Myelofibros		
VONJO (pacritinib)	A retrospective analysis of pacritinib treatment outcomes in myelofibrosis patients with and without monocytosis	e-Poster. #P2032 Fredag 14 juni, kl. 09:00 CEST
	Efficacy of pacritinib in patients with myelofibrosis who have overlapping thrombocytopenia and anemia	Postersession. #P1037 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
	Real-World Treatment Patterns and Outcomes in Patients with Myelofibrosis Treated with Pacritinib in the United States	Postersession. #P1072 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST

Hemofili A		
Efanesoctocog alfa	Individual Pharmacokinetic Evaluation of Fixed-Sequence Single-Dose Octocog Alfa, Rurioctocog Alfa Pegol, and Efanesoctocog Alfa in Adults With Severe Hemophilia A	Postersession. #P1645 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
Paroxysmal nokturn hemoglobinuri		
Aspaveli (pegcetacoplan)	Efficacy and safety of intensive pegcetacoplan dosing for the treatment of acute hemolysis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria	Postersession. #P812 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
	Long-term outcomes of pegcetacoplan treatment in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and baseline hemoglobin levels greater than 10 grams per deciliter	Postersession. #P816 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
	Characterization of clinically significant breakthrough hemolysis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treated with pegcetacoplan	Postersession. #P819 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
	Thrombosis and Meningococcal infection rates in pegcetacoplan patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria in the Post-Marketing setting	Postersession. #P838 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST
	Improvement in Iron Overload with pegcetacoplan therapy in patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria previously treated with eculizumab	Postersession. #P841 Fredag 14 juni, kl. 18:00–19:00 CEST

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 Europeiska Unionen, USA och ett flertal andra länder för behandling av trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp, samt för behandling av trombocytopeni hos vuxna med 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 och ökad blödningsrisk. Incidensen av primär ITP hos vuxna är 3,3/100 000 per år med en prevalens på 9,5 per 100 000 vuxna. (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 trombocytomi) med ett trombocytantal under $50 \times 10^9/L$. 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 <https://www.ctibiopharma.com>.

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. Kommittén för humanläkemedel vid Europeiska läkemedelsmyndigheten avgav ett positivt yttrande som rekommenderade godkännande av efanesoctocog alfa för behandling och förebyggande av blödningar och perioperativ profylax vid hemofili A i april 2024.

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 Aspaveli/Empaveli i USA, EU och andra marknader världen över. Aspaveli/Empaveli utvärderas även för 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 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.

Om 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 1 600 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](#).