

EU-kommissionen beviljar Sobi® marknadsgodkännande för ALTUVOCT™ för behandling av hemofili A

Sobi® meddelar idag att EU-kommissionen har beviljat marknadsgodkännande för ALTUVOCT™ (efanesoctocog alfa) för behandling och prevention av blödningar samt perioperativ profylax vid hemofili A. ALTUVOCT är en faktorerersättningsterapi som ger långvarigt höga faktor VIII-nivåer hos patienter i alla åldrar oavsett tillståndets svårighetsgrad. En profylaktisk dos en gång per vecka ger barn, ungdomar och vuxna en faktor VIII-aktivitetsnivå som ligger ovanför gränsen för vad som räknas som hemofili (över 40%) under större delen av veckan, och når dalvärden på 15% hos vuxna och ungdomar före nästa dos. Detta innebär ett väsentligt förbättrat skydd mot blödningar jämfört med tidigare faktor VIII-profylax.

EU-kommissionen har också följt den Europeiska läkemedelsmyndigheten EMA:s rekommendation om bibehållen särlekemedelsstatus för ALTUVOCT som beviljats tio års marknadsexklusivitet. EMA:s rekommendation tar hänsyn till befintliga behandlingar och noterar att profylax med ALTUVOCT en gång i veckan visade en signifikant lägre årlig blödningsfrekvens jämfört med andra faktor VIII-produkter, vilket utgör en kliniskt relevant fördel.

"Trots att framsteg gjorts begränsar hemofili fortfarande patienters möjligheter i livet vilket betyder att det finns ett fortsatt behov av behandlingar som erbjuder förhöjt skydd. ALTUVOCTs långvarigt höga FVIII-aktivitetsnivåer med dosering en gång i veckan har potential att väsentligt förbättra livskvaliteten för personer med hemofili A. Studierna visade väsentliga förbättringar i prevention och behandling av blödningar samt betydande förbättringar i fysisk hälsa, smärta och ledhälsa", säger professor Robert Klamroth, MD, PhD, chef för institutionen för invärtesmedicin, vaskulär medicin och koagulationsrubbningar vid Vivantes Klinikum Friedrichshain, Berlin, Tyskland.

Marknadsgodkännandet baseras på resultaten från de pivotala fas 3-studierna som utvärderade effekten och säkerheten av ALTUVOCT hos personer med svår hemofili A: XTEND-1 hos vuxna och ungdomar, och XTEND-Kids hos barn. Dessa studier visade att profylax med ALTUVOCT en gång i veckan (50 IE/kg) gav ett signifikant blödningsskydd oavsett ålder (medelvärde årlig blödningsfrekvens, ABR <1 och 80–88 % av patienterna var fria från spontana blödningar). Resultaten visade också väsentlig förbättring av ledhälsa, fysisk hälsa, smärta och allmän livskvalitet vid en jämförelse av värdena vecka 52 med värdena innan behandling sattes in.^{1,2} Ingen utveckling av faktor VIII-inhibitorer observerades i det kliniska programmet med ALTUVOCT.

"Godkännandet av ALTUVOCT markerar ett stort steg framåt inom hemofilivården med potential att avsevärt förbättra behandlingsresultaten och livskvaliteten. För första gången kan faktor VIII-aktivitetsnivåerna upprätthållas under större delen av veckan med förenklad dosering en gång i veckan. Vi är stolta över vårt samarbete med människorsom lever med hemofili, när vi leder ett paradigmskifte mot normal hemostas och skapar nya möjligheter tillsammans", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs, 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 pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. Personer med hemofili A upplever blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående ledsador, 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.

ALTUVOCT erhöll sitt första marknadsgodkännande av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA i februari 2023. Tidigare, i maj 2022, hade efanesoctocog alfa som första faktor VIII-terapi beviljats Breakthrough Therapy-status av FDA - samt i februari 2021 s.k. Fast Track-status och 2017 sär-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.
2. Malec, L., Dunn, A., Carcao, M., Zulfikar, B., Berrueto, R., Brown, S., Khan, U., Gunawardena, S., Neill, G., Abad-Franch, L., Bystrická, L., Santagostino, E., & Susen, S. (2023). Treatment of Bleeding Episodes with Efanesoctocog Alfa in Children with Severe Hemophilia A in the XTEND-Kids Phase 3 Study. *Blood*, 142 (Supplement 1), 3993.

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 ALTUVOCT™

ALTUVOCT (efanesoctocog alfa) [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein] (tidigare benämnt BIVV001) är den första faktorsättningsterapi som ger långvarigt höga faktor VIII-nivåer och som med en dos i veckan har potential att ge personer med hemofili A nära normala faktornivåer under en större del av veckan och förbättra blödningsskyddet. Efanesoctocog alfa bygger på den etablerade Fc fusionstekniken genom att innovativt 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. EU-kommissionen tilldelade efanesoctocog alfa sär-läkemedelsstatus i juni 2019. Det är godkänt och marknadsfört som ALTUVOCT™ av Sobi i Europa. Det är också godkänt och marknadsfört som ALTUVIIIIO™ [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehrl] av Sanofi i USA, Japan och Taiwan.

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 ALTUVOCT™, 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 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. De 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 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. Sobis aktie (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](#).