

NEJM publicerar resultat från fas 3-studien XTEND-Kids med ALTUVOCT® som visar behandlingspotentialen för barn med svår hemofili A

- XTEND-Kids är den första utvärderingen av profylaktisk behandling med ALTUVOCT® en gång i veckan hos tidigare behandlade barn
- Resultaten visar ett mycket effektivt skydd mot blödningar hos barn under 12 år med svår hemofili A

Sobi® meddelade idag publiceringen av fullständiga resultat från fas 3-studien XTEND-Kids i *The New England Journal of Medicine* (NEJM) som bekräftar effekt- och säkerhetsprofilen för ALTUVOCT® hos barn under 12 år med svår hemofili A. Studien visade att profylax en gång i veckan med en fast dos av ALTUVOCT, en ny klass faktorterapi med långvarigt höga faktor VIII-nivåer, gav ett mycket effektivt skydd mot blödningar hos barn.

"Barn utgör en population för vilken det historiskt har varit svårt att uppnå en effektiv prevention av blödningar", säger Lynn Malec, MD, medicinsk chef för Comprehensive Center for Bleeding Disorders och Associate Investigator vid Versiti Blood Research Institute, och docent i medicin och pediatrik vid The Medical College of Wisconsin. "Clearance av administrerade faktorkoncentrat är högre hos barn än vad vi ser hos vuxna, vilket ofta leder till betungande behandlingsregimer med flera injektioner per vecka. Genom att med en dos i veckan ge konsekvent höga och långvariga aktivitetsnivåer av faktor VIII tidigt i livet, har ALTUVOCT potential att förbättra rapporterade resultat för barn som lever med hemofili."

Den pivotala XTEND-Kids-studien som publicerades i *NEJM* visar att ALTUVOCT uppfyllde primära och viktiga sekundära effektmått, vilka inkluderade förekomst av faktor VIII-inhibitorer och årlig blödningsfrekvens (ABR). Ingen utveckling av faktor VIII-inhibitorer observerades, och resultaten visade ett varaktigt skydd mot blödningar vid dosering en gång i veckan. Dessa utfall stödjer värdet av att upprätthålla höga faktornivåer med ALTUVOCT hos barn med hemofili A.

"Den nyligen genomförda XTEND-Kids-studien ger ytterligare belägg för effekten och säkerheten hos ALTUVOCT, och lyfter fram hur långvarigt hög faktor VIII-aktivitet kan förbättra de kliniska behandlingsresultaten hos barn", säger Lydia Abad-Franch, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs, och Chief Medical Officer på Sobi. "Att upprätthålla normala faktor VIII-nivåer utanför hemofiliintervallet under en betydande del av veckan kan effektivt minska förekomsten av alla typer av blödningar och göra det möjligt för personer med hemofili att leva ett mer aktivt liv. Dagens tillkännagivande stärker vårt långsiktiga åtagande att transformera vårdstandarden för personer i alla åldrar som lever med hemofili."

För patienter som behandlades enligt protokollet (n=73) var det uppskattade medelvärde (95 % KI) och medianvärdet [interkvartilintervall (IQR)] för total ABR 0,61 (0,42–0,90) respektive 0,00 (0,00–1,02). I 95% av fallen (41/43) kunde blödningsepisoder stoppas med en injektion av ALTUVOCT. Majoriteten (64%) av patienterna var helt blödningss fria, 84% av patienterna hade inga ledblödningar och 88% av patienterna hade inga spontana blödningar. Profylax med ALTUVOCT gav långvarigt hög faktor VIII-aktivitet i spannet utanför hemofili (över 40%) i tre dagar.

ALTUVOCT tolererades väl i studien. Ingen utveckling av inhibitorer mot faktor VIII observerades (0% [95% konfidensintervall (KI)] 0-4,9)), och inga biverkningar ledde till att behandlingen avbröts. De

vanligaste behandlingsrelaterade biverkningarna (>10%) var positivt test för SARS-CoV-2, övre luftvägsinfektion och feber (pyrexia). Inget fall av allvarliga allergiska reaktioner, anafylaxi, emboliska eller trombotiska händelser rapporterades.

Om hemofili A

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 inträffar 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 ledskador, och som i vissa fall kan vara livshotande.

Om XTEND-Kids

XTEND-Kids var en öppen, icke-randomiserad, enarmad interventionsstudie. Studiedeltagarna fick en profylaktisk dos ALTUVOCT® 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 faktorsättnings terapin 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 blödningskyddet. ALTUVOCT 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 ALTUVOCT sär läkemedelsstatus i juni 2019. Det är godkänt och marknadsfört som ALTUVOCT av Sobi i Europa. Det är också godkänt och marknadsfört som ALTUVIIIOTM [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehtl] 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 ALTUVIIIOTM 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. 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](#).