

Sobi visar sin styrka inom hematologi på ASH 2024

Nya data från Sobi® och partnerföretag kommer att presenteras vid American Society of Hematologys (ASH) 66:e årliga kongress som hålls i San Diego, USA, 7–10 december 2024. Presentationerna omfattar ett flertal analyser inom hemofili A, paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH), immunologisk trombocytopeni (ITP), myelofibros, och hemofagocyterande lymfohistiocytos.

"Hemofili A har en långsiktig inverkan på ledhälsa och livskvalitet. Vid ASH 2024 kommer tre muntliga presentationer att redovisa viktiga nya profylaxdata för ALTUVOC[®]", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of R&D and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi kommer också att presentera nya data inom en rad allvarliga och funktionsnedsättande sällsynta sjukdomar, inklusive en muntlig presentation om effekten av Doptelet[®] vid behandling av ITP i klinisk vardag, vilket visar vårt breda engagemang för att ta fram innovativa behandlingar för personer med sällsynta hematologiska sjukdomar. Vi ser fram emot att dela med oss av dessa resultat i San Diego."

Viktiga data som presenteras på ASH 2024

Hemofili A		
Altuvoc [®] (efanesoctocog alfa)	Association Between Hemophilia Joint Health Score and Quality of Life Using Results from the XTEND-1 Efanesoctocog Alfa Phase 3 Trial	Muntlig presentation. Session: 322 Sessionsdatum: Måndag 9 december 2024, kl. 10.30–12.00 Presentationstid: kl. 11:30
	Clinical Outcomes Over 3 Years of Once-Weekly Efanesoctocog Alfa Treatment in Adults and Adolescents with Severe Hemophilia A: Second Interim Analysis from the Phase 3 XTEND-ed Long-Term Extension Study	Muntlig presentation. Session: 322. Sessionsdatum: Måndag 9 december 2024, kl. 10.30–12.00 Presentationstid: kl. 11.00
	Real-world Experience of Switching to Prophylactic Efanesoctocog Alfa in Patients with Moderate or Severe Hemophilia A: An Analysis of the Adelphi Hemophilia Disease Specific Programme [™]	Muntlig presentation. Session: 322 Sessionsdatum: Lördag, 7 december 2024, kl. 12.00–13.30 Presentationstid: kl. 13.00
	Cost Comparison of Efanesoctocog Alfa with Existing Factor VIII Replacement Therapies for Major Surgeries in People with Severe Hemophilia A	Posterpresentation. Session: 322 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00

Övergripande om hemofili A		
	Unmet Needs, Factor Consumption, and Healthcare Resource Use among People with Hemophilia A: Real-World Analysis of the Adelphi Hemophilia Disease Specific Programme™	Posterpresentation. Session: 721 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
	Real-World Patterns of Additional Factor Treatment Use Among Hemophilia A Patients on Regular Prophylaxis in the United States: Results from the PicnicHealth database	Posterpresentation. Session: 721 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
Hemofagocyterande lymfohistiocytos		
Gamifant® (emapalumab)	Transplant Related Outcomes in Patients with Hemophagocytic Lymphohistiocytosis Treated with Emapalumab as a Bridge to Hematopoietic Stem Cell Transplantation: The Real-HLH Study	Posterpresentation. Session: 721 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
	Patients (pts) with Optimized Hemophagocytic Lymphohistiocytosis (HLH) Inflammatory (OHI) Index-Confirmed Diagnosis of Malignancy-Associated HLH (mHLH) and Emapalumab Treatment	Posterpresentation. Session: 201 Sessionsdatum: Måndag 9 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
Myelofibros		
Vonjo® (pacritinib)	Hematologic Improvement Experienced by Pacritinib-Treated Patients with Myelofibrosis in Real-World Clinical Settings	Posterpresentation. Session: 908 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
	Improvement in Serum Albumin as a Measure of Improved Metabolic Profile in Pacritinib-Treated Patients: a Retrospective Analysis of Patients Treated Across Three Clinical Trials	Posterpresentation. Session: 634 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00
Paroxysmal nokturn hemoglobinuri		
Aspaveli® (pegcetacoplan)	Real-World Clinical Outcomes for Complement inhibitor Experienced and Naïve Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Patients Prescribed Pegcetacoplan in Europe and Canada	Posterpresentation. Session: 905 Sessionsdatum: Måndag 9 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00

Immunologisk trombocytopeni		
Doptelet® (avatrombopag)	Use of Avatrombopag in Patients with Immune Thrombocytopenia: Interim Analysis of the Phase 4 ADOPT Study	Muntlig presentation. Session: 311 Sessionsdatum: Måndag 9 december 2024 10.30–12:00 Presentationstid kl. 11.45
	Analysis of Durability of Response to Avatrombopag (AVA) from a Phase 3b Multicenter, Randomized, Double-Blind, Placebo (PBO)-controlled, Parallel-group Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of AVA for the Treatment of Pediatric Patients with Immune Thrombocytopenia	Posterpresentation. Session: 311 Sessionsdatum: Lördag, 7 december 2024 Presentationstid: kl. 17.30–19.30
	Enhanced Patient Satisfaction and Stability of Platelet Counts Following a Switch from Eltrombopag (ELT) or Romiplostim (ROMI) to Avatrombopag (AVA) In Adult Idiopathic Thrombocytopenic Purpura (ITP): Post-hoc Analyses from a Prospective Phase 4 Study	Posterpresentation. Session: 311 Sessionsdatum: Lördag, 7 december 2024 Presentationstid: kl. 17.30–19.30
	Results of a Prospective, Open-label, Phase 4 Study Evaluating the Safety, Efficacy, and Treatment Satisfaction in Adult Immune Thrombocytopenia (ITP) Subjects after Switching to Avatrombopag (AVA) from Eltrombopag (ELT) or Romiplostim (ROMI)	Posterpresentation. Session: 311 Sessionsdatum: Lördag, 7 december 2024 Presentationstid: kl. 17.30–19.30
	Real-World Treatment Patterns and Outcomes in Patients with Primary Immune Thrombocytopenia Treated with Avatrombopag in the United States: REAL-AVA 2.0 Interim	Posterpresentation. Session: 905 Sessionsdatum: Söndag 8 december 2024 Presentationstid: kl. 18.00–20.00

Om ALTUVOCT®

ALTUVOCT® (efanesoctocog alfa) [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein] (tidigare benämnt BIVV001) är den första faktorsättningsterapin 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 behandlingen som kunnat bryta igenom von Willebrandsfaktortaket, vilket begränsar halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. EU-kommissionen tilldelade efanesoctocog alfa säriläkemedelsstatus 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-ehlt] 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 ALTUVOLT® (efanesoctocog alfa), benämnt ALTUVIIIOTM i USA. Sobi har de slutliga utvecklings- och kommersialisingsrättigheterna inom Sobis marknader (huvudsakligen Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknaderna i Mellanöstern). Sanofi äger slutliga utvecklings- och kommersialisingsrättigheter i Nordamerika och övriga regioner i världen, förutom Sobis territorier.

Om Gamifant®

Gamifant® (emapalumab) är en monoklonal anti-gammainterferon (IFN γ) antikropp som binder till och neutraliserar IFN γ . I USA är Gamifant godkänt för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) med refraktär, återkommande eller progressiv sjukdom eller intolerans mot konventionell HLH-behandling. Primär HLH är ett sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom som oftast uppträder inom det första levnadsåret och snabbt kan bli livshotande om det inte diagnostiseras och behandlas. FDA-godkännandet baseras på data från de kliniska fas 2/3-studierna (NCT01818492 och NCT02069899). Gamifant administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT).

Om Vonjo®

VONJO är godkänt för behandling av vuxna med primär eller sekundär myelofibros med intermediär eller hög risk (post-polycytemia vera eller postessentiell trombocytemi) 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 avhängigt av att klinisk nytta bekräftas och dokumenteras i en bekräftande studie. 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 www.ctibiopharma.com.

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 flera 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 kommersialisingsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA samt globala kommersialisingsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi.

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 över 30 länder runtom i världen, inklusive EU och USA, för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp, samt för behandling av trombocytopeni hos vuxna med primär kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) som visat otillräckligt svar på tidigare behandling. Kronisk ITP är en sällsynt autoimmun blödningsrubbing 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.

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 1 800 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Intäkterna 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](#).