

Tryngolza® (olezarsen) godkänt för familjär kylomikronemi (FCS) i EU

Sobi® (STO: SOBI), ett globalt biofarmabolag inriktat på att göra innovativa behandlingar tillgängliga för patienter med sällsynta sjukdomar, meddelade idag tillsammans med Ionis Pharmaceuticals, Inc. att Tryngolza® (olezarsen) har godkänts i EU som ett komplement till diet för behandling av vuxna patienter med genetiskt bekräftad familjär kylomikronemi (FCS). Godkännandet följer på [det positiva utlåtandet](#) från EMA:s vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP).

Godkännandet baseras på positiva data från fas 3-studien Balance, i vilken Tryngolza 80 mg visade en statistiskt signifikant minskning av triglyceridnivåerna i fastande tillstånd vid sex månader, en minskning som kvarstod under de tolv månader som studien pågick. Dessutom visade Tryngolza en betydande och kliniskt relevant minskning av akuta pankreatiter under tolv månadersperioden. Tryngolza hade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil. Resultat från studien publicerades i [The New England Journal of Medicine \(NEJM\)](#).

Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi säger: "Tryngolza är nästa steg i vårt stöd till personer som lever med FCS i Europa. Det har en stark säkerhets- och effektpåverkan, med en signifikant minskning av triglyceridnivåer och en betydande minskning av akuta pankreatiter, vilket påverkar sjuklighet, dödlighet och livskvalitet. Detta bygger vidare på vårt engagemang för personer som lever med FCS som inleddes med Waylivra (volanesorsen), den hittills enda godkända behandlingen för FCS i Europa. Efter EU-kommissionens godkännande av Tryngolza för FCS ser vi nu fram emot att erbjuda denna behandling till patienter som omfattas av indikationen för detta sällsynta och svåra tillstånd i hela EU. Genom tillägget av en leverriktad ligand erbjuder Tryngolza viktiga förbättringar som minskar behandlings- och sjukdomsburden för patienter med FCS."

FCS är en sällsynt och genetisk form av svår hypertriglyceridemi (sHTG). Personer med FCS har ofta extremt höga triglyceridnivåer och löper stor risk att utveckla akut pankreatit, vilket kan vara livshotande. I EU beräknas FCS drabba upp till 13 personer på miljonen.

"EU:s godkännande av Tryngolza är ett betydande framsteg för behandlingen av FCS", säger Brett P. Monia, PhD, vd på Ionis. "Tryngolza har potential att bli ett livsförändrande behandlingsalternativ för patienter med FCS i EU som löper risk att drabbas av svåra och livshotande akuta pankreatiter. Vi är stolta över att samarbeta med Sobi, en mångårig partner till Ionis och nätverket kring FCS, för att göra Tryngolza tillgängligt för personer med FCS i EU."

Sobi har exklusiva rättigheter att kommersialisera Tryngolza i länder utanför USA, Kanada och Kina. Tryngolza utvärderas också hos patienter med sHTG som har triglyceridnivåer på ≥ 500 mg/dL (5,65 mmol/L), och positiva topline-resultat från fas 3-studierna tillkännagavs i september 2025.

Om studien Balance

Fas 3-studien Balance var en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, global multicenterstudie som utvärderade effekt och säkerhet av olezarsen hos patienter med FCS under en 12-månadersperiod. Det primära effektmåttet var den procentuella förändringen i triglyceridnivåerna i fastande tillstånd vid 6 månader, jämfört med placebo. Sekundära

effektmått omfattade bland annat procentuell förändring i triglyceridnivåer vid 12 månader, procentuella förändringar i andra lipidparametrar vid 6 och 12 månader samt verifierad frekvens av akuta pankreatiter under behandlingsperioden. Efter avslutad behandling och slutförda prövningsbedömningar erbjöds patienterna att delta i en öppen förlängningsstudie där olezarsen gavs var fjärde vecka.

Om familjär kylomikronemi (FCS)

FCS är en sällsynt genetisk sjukdom som kännetecknas av extremt höga nivåer av triglycerider. Den orsakas av nedsatt funktion av enzymet lipoproteinlipas (LPL). På grund av begränsad LPL-produktion eller LPL-funktion kan personer med FCS inte effektivt bryta ner kylomikroner, lipoproteinpartiklar som till 90 procent utgörs av triglycerider. Personer som lever med FCS löper ökad risk att drabbas av akut pankreatit utöver andra kroniska hälsoproblem som trötthet och svår, återkommande buksmärta. Personer som lever med FCS är ibland oförmögna att arbeta, vilket ökar sjukdomsburden.

Om TRYNGOLZA® (olezarsen)

Tryngolza® är ett RNA-inriktat läkemedel som är utformat för att sänka kroppens produktion av apolipoprotein C-III, ett leverproducerat protein som är en viktig regulator av triglyceridmetabolismen. Tryngolza® (olezarsen) är godkänt i USA och EU hos vuxna med familjär kylomikronemi (FCS). Tryngolza administreras som 80 mg subkutan injektion en gång i månaden med en förfylld injektionspenna. Olezarsen utvärderas också för behandling av svår hypertriglyceridemi (SHTG), kännetecknat av höga triglyceridnivåer vid fasta om ≥ 500 mg/dl.

Om Sobi

Sobi är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande innovationer och ger personer som lever med sällsynta sjukdomar en bättre vardag. Sobi har cirka 1 900 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. För 2024 uppgick intäkterna till 26 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com och [LinkedIn](#).

Kontakter Sobi

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).