

Pressmeddelande

Stockholm, 5 december 2025

Sobi presenterar vetenskapliga framsteg inom hematologi på ASH 2025

Sobi® (STO: SOBI), meddelade idag sitt deltagande vid American Society of Hematology, ASH:s 65:e årliga kongress som hålls i Orlando, USA, 6–9 december.

Vid årets kongress visar Sobi sitt engagemang för att förbättra vården inom hematologi med 19 vetenskapliga abstract, inklusive två muntliga presentationer. Dessa omfattar de senaste kliniska resultaten och insikterna från slutförda och pågående studier i Sobis innovativa portfölj, inklusive data från efanesoctocog alfa, pegcetacoplan, avatrombopag, emapalumab och pacritinib. Presentationerna framhäver Sobis uppdrag att leverera livsförändrande behandlingar för patienter med sällsynta och allvarliga blodsjukdomar.

"På ASH kommer vi att presentera evidens från en post hoc-analys som stödjer att pacritinib minskar eller stabiliserar mjältvolymen, förbättrar hematologiska parametrar och lindrar myelofibrossymtom hos patienter med högrisksjukdom. Dessa resultat är viktiga eftersom de adresserar huvudsakliga orsaker bakom sjuklighet som påverkar vardagsfunktion och livskvalitet. ASH-kongressen ger oss också möjlighet att diskutera den senaste forskningen om emapalumab, efanesoctocog alfa, pegcetacoplan, avatrombopag och loncastuximab tesirine", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi.

Översikt över samtliga studiedata som Sobi presenterar vid ASH 2025:

Efanesoctocog alfa	
Clinical outcomes up to four years of once-weekly Efanesoctocog Alfa Prophylaxis in previously treated adults, adolescents, and children with severe Haemophilia A: Interim analysis of the Phase 3 XTEND-ed long-term extension study	Muntlig presentation Session: 322. Haemophilia A and B: Clinical and epidemiological: Innovations shaping the future of Haemophilia care Datum: 7 december 2025 Tid: 12:00–13:30 ET Presentationstid: 13:00–13:15 ET Rum: OCCC – W304EFGH Publikationsnummer: 539
Understanding unmet needs for people with Haemophilia A receiving factor and non-factor treatments	Posterpresentation Session: Poster session I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4

	Publikationsnummer: 2679
Real-world experience of Efanesoctocog Alfa in Haemophilia A patients in the US: A retrospective analysis	Posterpresentation Session: Poster session I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4 Publikationsnummer: 1286
Patient characteristics, treatment patterns, and bleeding in people with Haemophilia A without inhibitors initiating Efanesoctocog alfa in the US: An administrative claims analysis	Posterpresentation Session: Poster session I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4 Publikationsnummer: 1290
Quality of life and functional improvements with Efanesoctocog alfa in patients with moderate to severe Haemophilia A: A real-world survey	Posterpresentation Session: Poster Session III Datum: 8 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4 Publikationsnummer: 4846
Pegcetacoplan	
Consistent benefits of Pegcetacoplan treatment in PNH patients with and without a history of Aplastic Anaemia in real world: Analysis of the ongoing COMPLETE Phase 4 observational study	Posterpresentation Session: 101. Red Cells and Erythropoiesis, Excluding Iron: Poster I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Early results from the ongoing Pegcetacoplan Silo of the International Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria Interest Group Registry	Posterpresentation Session: 508. Bone Marrow Failure: Acquired: Poster II Datum: 7 december 2025 Tid: 18:00:00–18:00:00 ET Plats: OCCC - West Halls B3-B4
Real-world clinical characteristics and treatment outcomes in PNH patients prescribed Pegcetacoplan: Insights of complement inhibitor-experienced and -naïve patients across Europe, the United States and Canada	Posterpresentation Session: 508. Bone Marrow Failure: Acquired: Poster III Datum: 8 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Pegcetacoplan - abstract endast för publicering	
Real-world effectiveness of Pegcetacoplan in Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria: A systematic review of clinical and patient-reported outcomes	Endast för publicering - publiceras online 3 november 2025, kl. 9:00 AM ET
Low risk for Meningococcal and encapsulated bacteria infections with systemically administered	

Pegcetacoplan in Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria and C3 Glomerulopathies	
Overview of treatment advances with complement Inhibitors in patients with Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria	
Optimising PNH treatment with the complement inhibitor Pegcetacoplan: A case report	
User experience with Pegcetacoplan on-body Injector in patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria	
Avatrombopag	
Real-world treatment patterns and outcomes among patients with immune thrombocytopenia (ITP) who switched treatment from Eltrombopag or Romiplostim to Avatrombopag in the United States: Results from the real-AVA 3.5 study	Posterpresentation Session: 905. Outcomes research: Non-malignant conditions excluding Hemoglobinopathies: Poster I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Real-world safety and efficacy of Avatrombopag in adults with Immune Thrombocytopenia: A systematic review and meta-analysis.	Globalt abstract Session: 311. Disorders of platelet number or function: Clinical and epidemiological: Poster I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC – West Halls B3-B4
Patient-reported outcomes of Avatrombopag for Chronic Immune Thrombocytopenia: Interim analysis of the Phase 4 ADOPT Study	Posterpresentation Session: 905. Outcomes research: Non-malignant conditions excluding Hemoglobinopathies: Poster III Datum: 8 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Emapalumab	
Use of Emapalumab is associated with rapid and sustained benefits in pHLH subgroups, including CNS involvement and previously untreated patients: Pooled analysis of prospective trials NI-0501-04, NI-050105 and NI-050109	Posterpresentation Session: 201. Granulocytes, Monocytes, and Macrophages: Poster II Datum: 7 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Emapalumab induces rapid, durable responses and reliable bridging to curative HSCT in patients with primary HLH: Pooled analysis of prospective trials NI-0501-04, NI-0501-05 and NI-0501-09	Posterpresentation Session: 201. Granulocytes, Monocytes, and Macrophages: Poster III Datum: 8 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4

Pacritinib	
Real-world treatment patterns and outcomes in patients with myelofibrosis who presented with thrombocytopenia and anaemia at initiation of Pacritinib treatment	Muntlig presentation Session: 908. Outcomes Research: Myeloid Malignancies: Real-World Experiences Sessionsdatum: 7 december 2025 Sessionstid: 16:30–18:00 ET Presentationstid: 17:30–17:45 ET Rum: OCCC - W414CD
Pacritinib in patients with high-risk myelofibrosis: Outcomes from post-hoc analyses of two Phase 3 studies	Posterpresentation Session: 634. Myeloproliferative Syndromes: Clinical and epidemiological: Poster I Datum: 6 december 2025 Tid: 17:30–19:30 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Real-world treatment patterns and clinical outcomes in patients with Myelofibrosis treated with Pacritinib (PAC): Results from the MY-PAC Study	Posterpresentation Session: 908. Outcomes research: Myeloid Malignancies: Poster II Datum: 7 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
PROSPERA (ABNL-MARRO 002): A randomised Phase 2 study of Pacritinib vs. Hydroxyurea in patients with Advanced Proliferative Chronic Myelomonocytic Leukaemia (CMML)	Posterpresentation Session: 637. Myelodysplastic Syndromes: Clinical and epidemiological: Poster II Datum: 7 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Treatment patterns and outcomes in patients with myelofibrosis treated with Pacritinib following a switch from Ruxolitinib: The MY-PAC Study	Session: 634. Myeloproliferative Syndromes: Clinical and epidemiological: Poster III Datum: 8 december 2025 Tid: 18:00–20:00 ET Rum: OCCC - West Halls B3-B4
Incidence, prevalence, and clinical outcomes of Myelofibrosis with and without Cytopenia in the United States	

Om ALTUVOCT® (efanesoctocog alfa)

ALTUVOCT® (efanesoctocog alfa) är indicerat för behandling och profylax av blödningar hos patienter med hemofili A (HA). ALTUVOCT kan användas i alla åldrar oavsett tillståndets svårighetsgrad.

Om Sobis och Sanofis samarbete

Sobi och Sanofi samarbetar kring utvecklingen och kommersialisering av ALTUVOCT® (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.

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®)

112 76 Stockholm

Besöksadress: Norra Stationsgatan 93A, Stockholm

08 697 20 00 | info@sobi.com | sobi.com

Om Aspaveli®/Empaveli® (pegcetacoplan)

Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan) är en måliniktad C3- och C3b-hämmare som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3 och C3b kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Aspaveli/Empaveli är också godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) i USA, EU och andra marknader världen över, samt är också godkänt för behandling av C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (ICMPGN) i USA. Regulatorisk granskning för C3G och IC-MPGN pågår i EU och på andra globala marknader.

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

Om Doptelet® (avatrombopag)

Doptelet® (avatrombopag) är indicerat för behandling av primär kronisk immunologisk trombocytopeni (ITP) hos vuxna patienter som är refraktära mot andra behandlingar, och för behandling av svår trombocytopeni hos vuxna patienter med kronisk leversjukdom (CLD) som ska genomgå ett kirurgiskt ingrepp. Doptelet är också godkänt för behandling av kronisk ITP hos barn.

Om Gamifant® (emapalumab-lzsg)

Gamifant är en anti-gammainterferon (IFN γ) antikropp som binder fritt och receptorbundet IFN γ . När IFN γ utsöndras på ett okontrollerat sätt kan det orsaka hyperinflammation. Gamifant är indicerat för administrering via intravenös infusion under en timme och är godkänt av FDA i USA för behandling av hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) och makrofagaktiverande syndrom (MAS) vid Stills sjukdom.

About Vonjo® (pacritinib)

Vonjo är en i USA godkänd kinashämmare för behandling av vuxna med primär eller sekundär myelofibros med intermediär eller hög risk (post-polycytemia vera eller postessentiell trombocytemi) och ett trombocytantal under $50 \times 10^9/L$. Denna indikation är godkänd enligt ett villkorat godkännande baserat på minskning av mjältvolym. Fortsatt godkännande för denna indikation förutsätter en bekräftande studie som verifierar och tydliggör den kliniska nyttan. Vonjo utvärderas också för andra sällsynta hematologiska tillstånd, inklusive VEXAS-syndrom.

Om Sobi

Sobi® är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande behandlingar och ger människor 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 [Linkedln](https://www.linkedin.com/company/sobi).

Kontakter

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