

NEJM publicerar data som visar kliniskt meningsfull prevention av blödningar och överlägset blödningsskydd med efanesoctocog alfa

Pivotala studiedata [publicerade i The New England Journal of Medicine \(NEJM\)](#) belyser fortsatt effektivitet, säkerhet och farmakokinetisk profil för efanesoctocog alfa (tidigare benämnt BIVV001), ett potentiellt nytt läkemedel för hemofili A. Dessa data visar de kliniska fördelarna med normala till nära normala faktornivåer (>40 %) under större delen av veckan, som uppnås med dosering av efanesoctocog alfa en gång i veckan. Efanesoctocog alfa är för närvarande under prioriterad regulatorisk granskning i USA med måldatum för beslut satt till den 28 februari 2023.

Hemofili A är ett sällsynt, livslångt tillstånd där blodets koaguleringsförmåga är nedsatt vilket leder till kraftiga blödningar som kan ge upphov till ledskador och kronisk smärta och potentiellt påverka livskvaliteten. Svårighetsgraden av hemofili fastställs genom att mäta nivån på blodets koaguleringsförmåga.

"Vi är glada över potentialen efanesoctocog alfa erbjuder för att tillgodose ouppfyllda behov så att personer med blödersjuka kan leva ett aktivt liv. Idag behöver de ofta göra en avvägning mellan blödningsskydd och doseringsfrekvens", säger Angela Weyand MD, prövare i den kliniska studien XTEND-1 och docent vid Michigan Medicine. "Baserat på resultaten i XTEND-1-studien, som utvärderar efanesoctocog alfa, kan vi uppnå nära normala faktornivåer under en längre tidsperiod (större delen av en vecka) med en engångsdos, vilket hittills inte har varit möjligt vid hemofili A. Data visar att efanesoctocog alfa kan ge patienter ett förbättrat blödningsskydd vilket leder till förbättrade resultat, såsom minskad smärta och förbättrad fysisk funktion, vilket i sin tur kan påverka det dagliga livet genom att behandlingsbördan minskar."

Data från den pivotala fas 3-studien XTEND-1 som publicerats i NEJM visar att efanesoctocog alfa nådde primära samt viktiga sekundära effektmått. Resultaten påvisar kliniskt meningsfull prevention av blödningar och överlägset blödningsskydd jämfört med tidigare profylax, baserat på en jämförelse bland patienter. Behandling med efanesoctocog alfa-profylax gav också signifikanta och kliniskt betydelsefulla förbättringar av fysisk hälsa, smärta och ledhälsa. Några nyckelresultat:

- Medianvärdet samt genomsnittlig årlig blödningsfrekvens (ABR) var 0,00 (interkvartilintervall: 0,00-1,04) respektive 0,71 (95 % KI: 0,52-0,97).
- Statistiskt signifikant och kliniskt meningsfull minskning av ABR (77 %) jämfört med tidigare faktor VIII-profylax ($p < 0,001$).
- 97 % av blödningsepisoderna upphörde efter en enda injektion av efanesoctocog alfa (50 IE/kg).
- Efanesoctocog alfa gav en faktoraktivitet som i medeltal var >40 IE/dL under större delen av veckan och 15 IE/dL dag 7.
- Efanesoctocog alfa-profylax förbättrade fysisk hälsa ($p < 0,001$), smärtintensitet ($p = 0,03$) och ledhälsa ($p = 0,01$) när man jämförde mätningar efter 52 veckor med studiestart.¹
- Hos patienter som hade leder med särskilt hög blödningsfrekvens (s.k. target joints) vid studiestart hade 100 % av target joints försvunnit efter minst 12 månaders kontinuerlig profylax.
- Efanesoctocog alfa tolererades väl och ingen FVIII-hämmande antikroppsutveckling (inhibitor) observerades. De vanligaste biverkningarna av behandlingen (totalt >5 % av deltagarna) var huvudvärk, ledvärk, fall och ryggsmärtor.

"Vi tror att en förändring av behandlingsparadigmet för hemofili A bara kan uppnås genom att höja behandlingsstandarden i riktning mot normal hemostas", säger Anders Ullman, Head of Research & Development och Medical Affairs, Chief Medical Officer på Sobi. "Publiceringen av X-TEND-1-studiens fas 3-resultat i NEJM påvisar betydelsen av dessa data för läkare och hemofilpatienter runt om i världen."

Om XTEND-1

Fas 3-studien XTEND-1 (NCT04161495) var en öppen, icke randomiserad interventionsstudie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa administrerat en gång i veckan hos personer som var 12 år eller äldre (n=159) med svår hemofili A och som tidigare behandlats med en faktor VIII-ersättningsterapi. Studien omfattar två parallella behandlingsarmar – en profylaxarm A (n=133), där patienter som tidigare fått faktor VIII-profylax fick intravenös profylaxbehandling med efanesoctocog alfa (50 IE/kg) en gång i veckan i 52 veckor, och en vid-behovsarm B (n=26), där patienter som tidigare fått vid-behovsbehandling med faktor VIII fick 26 veckors inledande vid-behovsbehandling med efanesoctocog alfa (50 IE/kg) och sedan övergick till profylaxbehandling en gång i veckan (50IE/kg) i ytterligare 26 veckor.

Det primära effektmåttet var årlig blödningsfrekvens, ABR, i arm A. Det huvudsakliga sekundära effektmåttet var en intrapatient-jämförelse av ABR vid veckovis profylax med efanesoctocog alfa jämfört med ABR vid tidigare faktor VIII-profylax för deltagare i arm A som deltagit i en tidigare observationsstudie (studie 242HA201/OBS16221).

Om hemofili A

Hemofili A är en sällsynt ärftlig sjukdom som gör att blodets koagulationsförmåga är nedsatt på grund av brist på faktor VIII. Hemofili A förekommer hos ungefär en på 5 000 födda pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. Personer med hemofili A kan få blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående leddskador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Faktorerersättningsterapi är fortfarande standardbehandlingen och kan användas i många olika behandlingsscenarier.

Om efanesoctocog alfa

Efanesoctocog alfa, tidigare benämnt BIVV001, är ett nytt rekombinant faktor VIII prövningsläkemedel med potential att ge nära normala faktornivåer under större delen av veckan samt förlänga blödningsskyddet med dosering en gång i veckan för personer med hemofili A. Efanesoctocog alfa bygger på den innovativa Fc-fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN® polypeptider för att potentiellt förlänga dess cirkulationstid i kroppen. Det är den enda behandlingen som visats kunna bryta igenom det så kallade von Willebrandfaktortaket som tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-behandlingar.

Efanesoctocog alfa är för närvarande under klinisk prövning och dess säkerhet och effekt har inte utvärderats av någon tillsynsmyndighet. Efanesoctocog alfa beviljades sär-läkemedelsstatus, Orphan Drug Designation, av US Food & Drug Administration (FDA) i augusti 2017 och Europeiska kommissionen i juni 2019. FDA har godkänt en prioriterad regulatorisk granskning av efanesoctocog alfa för behandling av hemofili A. Datum för FDA:s beslut är satt till den 28 februari 2023.

Regulatorisk ansökan om godkännande i EU förväntas under andra halvan av 2023 och kommer att ske då data från den pågående, färdigrekryterade XTEND-Kids studien på barn finns tillgängliga vilket förväntas under första halvan av 2023. Sanofi och Sobi samarbetar kring utvecklingen av efanesoctocog alfa.

Om Sobi och Sanofis samarbete

Sobi och Sanofi samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix® och Elocta®/Eloctate®. Bolagen samarbetar även kring utveckling och kommersialisering av efanesoctocog alfa. Sobi äger slutliga utvecklings- och kommersialisingsrättigheter i sina territorier (huvudsakligen Europa, Nordafrika, Ryssland och de flesta marknader i Mellanöstern). Sanofi äger slutliga utvecklings- och kommersialisingsrättigheter 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. Sanofi skapar läkemedelsbehandlingar och vacciner som förbättrar och räddar miljontals liv världen över, med hållbarhet och socialt ansvarstagande i fokus.

Referens

1. Fysisk hälsa utvärderades med Haem-A-QoL Physical Health-poäng. Smärtintensitet bedömdes med hjälp av PROMIS Pain Intensity 3a, den sämsta poängen under de senaste 7 dagarnas smärtintensitet.

Sobi®

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. Sobis intäkter för 2021 uppgick till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer information om Sobi finns på sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakt

För kontaktinformation till Sobis Investor Relations-team, klicka här. För Sobis mediakontakter, klicka här.