

FDA godkänner efanesoctocog alfa, en ny klass av faktorkoncentrat med långvarigt höga faktor VIII-nivåer och dosering en gång i veckan för behandling av hemofili A

Sobi® meddelar idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA godkänt efanesoctocog alfa [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehtl], den första i en ny klass av rekombinant faktorkoncentrat som resulterar i långvarigt höga faktor VIII-nivåer för vuxna och barn med hemofili A. Efanesoctocog alfa är den enda hemofili A-behandling som med en dos per vecka kan ge patienter normala till nära-normala faktor VIII-aktivitetsnivåer under större delen av veckan, vilket resulterar i överlägset skydd mot blödningar jämfört med befintlig faktor VIII-profylax.

Hemofili A är en sällsynt, ärftlig blödningsrubbnings 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 flickor. Personer med hemofili A upplever blödningar som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående leddskador, och som i vissa fall kan vara livshotande. Trots att framsteg gjorts i behandlingen av hemofili under de senaste åren kvarstår ett stort medicinskt behov som kräver att vårdstandarden förbättras ytterligare.

"Detta godkännande markerar ett viktigt kliniskt framsteg för människor som lever med hemofili då vi nu har ett alternativ som administrerat en gång per vecka kan åstadkomma högre faktoraktivitet", säger Lynn Malec, med.dr, Medical Director vid Versiti Comprehensive Center for Bleeding Disorders och biträdande professor vid The Medical College of Wisconsin, USA. "Genom att upprätthålla höga nivåer av faktoraktivitet under hela veckan kan patienter känna sig trygga med det skydd mot blödningar som efanesoctocog alfa ger."

"Å Sobis vägnar vill jag gratulera vår utvecklingspartner Sanofi till denna prestation", säger Anders Ullman, Head of Research & Development och Medical Affairs, Chief Medical Officer på Sobi. "Detta är en betydande milstolpe i vårt samarbete som verkar för att personer som lever med hemofili A runt om i världen ska få tillgång till denna viktiga nya behandling."

FDA-godkännandet baseras på data från den pivotala fas 3-studien XTEND-1 som nyligen publicerats i The New England Journal of Medicine. Efanesoctocog alfa administrerat en gång per vecka uppnådde det primära effektmåttet och gav signifikant förbättrat blödningsskydd hos personer med svår hemofili A, med median och medelvärde för årlig blödningsfrekvens (ABR) om 0,00 (kvartilavstånd: 0,00-1,04) respektive 0,71 (95% konfidensintervall: 0,52-0,97). Efanesoctocog alfa uppnådde även det huvudsakliga sekundära effektmåttet med en signifikant minskning, om 77% av ABR jämfört med tidigare profylax baserat på en intrapatient jämförelse. Profylaktisk behandling med 50 IE/kg/vecka av efanesoctocog alfa gav en genomsnittlig faktor VIII-aktivitet på över 40% under större delen av veckan med en minimiaktivitet om 15% dag sju. Dessa nivåer var samtidigt förknippade med en låg blödningsrisk.

Ytterligare data visade på förebyggande av ledblödningar med en genomsnittlig årlig ledblödningsfrekvens på 0 (Q1, Q3: 0,0, 1,0). Behandling med efanesoctocog alfa visade även att alla leder som tidigare drabbats av återkommande blödningar, så som knä, vrist eller armbåge,

återhämtades. Efanesoctocog alfa hade en gynnsam säkerhetsprofil hos vuxna och ungdomar och inga tecken på utveckling av faktor VIII-inhibitorer observerades.

Efanesoctocog alfa är i USA indicerat för rutinprofylax, vid-behovsbehandling och kontroll av blödningsepisoder, samt perioperativ hantering av blödningar. Den rekommenderade dosen 50 IE/kg en gång i veckan är avsedd för profylax hos patienter i alla åldrar, och samma dos kan administreras efter behov i olika kliniska situationer. Efanesoctocog alfa förväntas finnas kommersiellt tillgängligt i USA från och med andra kvartalet 2023 och kommer att marknadsföras som ALTUVIIIOTM på Sanofis territorier.

FDA prövade ansökan under prioriterad granskning, Priority Review, vilket beviljas läkemedel som har potential att signifikant förbättra behandling, prevention eller diagnos av ett allvarligt tillstånd.

Regulatorisk ansökan i EU kommer att skickas in efter att finala data från den pediatrika studien XTEND-Kids blir tillgängliga under första halvåret 2023. EU-kommissionen tilldelade efanesoctocog alfa sär-läkemedelsstatus i juni 2019.

Om efanesoctocog alfa

Efanesoctocog alfa (tidigare benämnt BIVV001) är ett nytt läkemedel under utveckling med rekombinant faktor VIII som med en dos i veckan har potential att förlänga blödningsskyddet och ge personer med hemofili A nära normala faktornivåer under större delen av veckan. Efanesoctocog alfa bygger på Fc fusionstekniken genom att lägga till en del av von Willebrandfaktorn och XTEN® polypeptider för att potentiellt förlänga faktor VIII-molekylens cirkulationstid i kroppen. Det är den enda behandling som kunnat bryta igenom von Willebrands faktortaket, vilket tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Läkemedlet är godkänt som ALTUVIIIOTM [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehtl] av Sanofi i USA. Läkemedlet är inte godkänt på någon marknad utanför USA.

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 efanesoctocog alfa, 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.

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. 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 nedbrytande sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Sobis intäkter för 2022 uppgick till 18,8 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på www.sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakt

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