

Positiva topline-resultat från den pivotala fas 3-studien XTEND-Kids med efanesoctocog alfa hos barn under tolv år med hemofili A

Det primära effektmåttet uppnåddes då inga faktor VIII-inhibitorer observerades, vilket bekräftar efanesoctocog alfas säkerhetsprofil hos tidigare behandlade patienter under 12 år

Slutförandet av XTEND-Kids innebär att den sista milstolpen för inlämnande av regulatorisk ansökan om godkännande i EU nu uppnåtts

Sobi® och Sanofi meddelar idag att den pivotala fas 3-studien XTEND-Kids som utvärderar säkerhet, effekt och farmakokinetik av efanesoctocog alfa givet en gång per vecka som profylax hos tidigare behandlade patienter under tolv års ålder med svår hemofili A, uppnådde sitt primära effektmått: Ingen utveckling av inhibitorer observerades hos de 74 barn som inkluderades i studien, varav 65 hade minst 50 dagars exponering. Efanesoctocog alfa gav långvarigt höga faktor VIII-nivåer under hela det veckolånga dosintervallet med en median årlig blödningsfrekvens (ABR) om 0,00 (kvartilavstånd: 0,00-1,02) och en estimerad genomsnittlig ABR (95% konfidensintervall) om 0,89 (0,56-1,42).

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 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. Efanesoctocog alfa är en ny klass av rekombinant faktorkoncentrat som är oberoende av von Willebrand-faktorn och som resulterar i långvarigt höga faktor VIII-nivåer vid en profylaktisk behandlingsregim med endast en dos per vecka.

"Dessa data bekräftar att efanesoctocog alfa har potential att bli en ny standardbehandling för hemofili A, med ett bättre skydd mot blödningar under längre tid i olika behandlingsscenarier oavsett ålder", säger Anders Ullman, med.dr, Head of Research & Development and Medical Affairs, Chief Medical Officer på Sobi. "Vi är glada att kunna gå vidare med ansökan om marknadsgodkännande i EU och ser fram emot att presentera dessa resultat vid en framtida medicinsk kongress."

Dessa resultat, tillsammans med resultaten från fas 3-studien XTEND-1, kommer att ligga till grund för en regulatorisk ansökan i EU. Efanesoctocog alfa beviljades säriläkemedelsstatus av EU-kommissionen i juni 2019 och godkändes nyligen i USA.

Om XTEND-Kids

XTEND-Kids är en öppen, icke-randomiserad, enarmad interventionsstudie. Studiedeltagarna fick en profylaktisk dos efanesoctocog alfa per vecka i 52 veckor. XTEND-Kids utvärderar effekt, säkerhet och farmakokinetik hos 74 tidigare behandlade patienter under 12 år med svår hemofili A.

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 blödningskyddet och ge personer med hemofili A nära normala faktornivåer under en signifikant del 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 Willebrandsfaktortaket, vilket tros begränsa halveringstiden hos nuvarande faktor VIII-terapi. Läkemedlet är godkänt som ALTUVIIIO [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein-ehtl] i USA.

XTEN® är ett registrerat varumärke som tillhör Amunix Pharmaceuticals, Inc.

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. 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 sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakter

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

Denna information är sådan information som Sobi är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2 mars 2023 kl. 08:00 CET.

Thomas Kudsk Larsen
Head of Communication and Investor Relations