

Nya data om efanesoctocog alfa presenterade vid ISTH visar ett mycket effektivt skydd mot blödningar hos barn med svår hemofili A vid dosering en gång i veckan

Data från XTEND-Kids bekräftar effekt- och säkerhetsprofilen för efanesoctocog alfa vid en dosering om 50 IE/kg hos tidigare behandlade barn, vilket redan visats hos vuxna och ungdomar. Ingen utveckling av inhibitorer mot faktor VIII observerades i studien.

Efanesoctocog alfa administrerat en gång i veckan gav FVIII-nivåer i den normala till nära normala nivån (över 40 %) under cirka 3 dagar hos patienter under 12 år vilket resulterade i effektivt skydd mot blödningar under veckan.

I en så kallad late-breaking session vid den årliga kongressen för International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) i Montreal, Kanada, presenterades idag pivotala data från fas 3-studien XTEND-Kids. Studien utvärderar profylax med efanesoctocog alfa [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc-VWF-XTEN Fusion Protein] administrerat en gång i veckan hos tidigare behandlade patienter under 12 år med svår hemofili A.

Presentationen redogjorde för resultaten från XTEND-Kids-studien och bekräftade att efanesoctocog alfa uppnått det primära effektmåttet, ingen förekomst av inhibitorer, samt sekundära effektmått inklusive årlig blödningsfrekvens (ABR). I pediatrika populationer är reningen av administrerade faktorkoncentrat i blodet högre än hos vuxna, vilket ofta kräver flera injektioner per vecka med SHL- eller EHL-faktor VIII-produkter. De nu presenterade data bekräftar att en dos om 50 IE/kg efanesoctocog alfa en gång i veckan ger ett mycket effektivt blödningsskydd hos både barn och vuxna och kan användas i alla kliniska scenarier.

"Hemofili A diagnostiseras ofta i mycket unga år. Hemofilipatienter ombeds vara försiktiga i sina fysiska aktiviteter för att förhindra blödningar och leddskador vilket är särskilt utmanande för små barn. De behöver också frekventa infusioner av profylaktisk behandling. Resultaten från XTEND-Kids visar att efanesoctocog alfa ger ett mycket effektivt blödningsskydd även hos pediatrika patienter, med dosering en gång i veckan. Detta är uppmuntrande eftersom det visar på dess potential att bli ny vårdstandard för hemofili A oavsett patientens ålder", säger Lydia Abad-Franch, MD, PhD, Head of Research & Development and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi.

Huvudsakliga resultat

Fas 3-studien XTEND-Kids (NCT04759131) var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av veckovis dosering med efanesoctocog alfa hos patienter under 12 år med svår hemofili A och som tidigare behandlats med en faktor VIII-ersättningsterapi. Patienterna (n=74) erhöll profylax med efanesoctocog alfa en gång i veckan (50 IE/kg) under 52 veckor.

- Ingen utveckling av inhibitorer mot faktor VIII observerades i studien (0% [95% konfidensintervall (KI)] 0-4,9)).
- Efanesoctocog alfa tolererades väl och uppvisade en säkerhetsprofil överensstämmande med XTEND-1-studien, vilken bekräftade säkerhet hos både vuxna och barn.

- Inget fall av allvarliga allergiska reaktioner, anafylaxi, emboliska eller trombotiska händelser rapporterades. Inga biverkningar ledde till att behandlingen avbröts.
- Medianvärdet (kvartilavstånd) och medelvärde för ABR (95% KI) var 0,00 (0,00–1,02) respektive 0,89 (0,56–1,42).
- 64 % av patienterna var helt blödningsfria, 82 % av patienterna hade inga ledblödningar och 88 % av patienterna hade inga spontanablödningar.
- Farmakokinetiska resultat visade att profylax med efanesoctocog alfa en gång per vecka gav FVIII-nivåer över 40 % under cirka 3 dagar och över 10 % vid dag 7.

Hemofili A är ett sällsynt, livslångt tillstånd som gör att blodets koagulationsförmåga är nedsatt, vilket leder till kraftiga och akuta ledblödningar som kan ge upphov till ledsador och kronisk smärta, och potentiellt påverka livskvaliteten. Svårighetsgraden av hemofili fastställs genom att mäta blodets koagulationsfaktorkativitet. Det finns ett negativt samband mellan risken för blödning och faktorkativitetsnivån.

Efanesoctocog alfa, som marknadsförs under namnet ALTUVIIIIO™ i USA, är en ny klass av faktorkoncentrat med långvarigt höga faktor VIII-nivåer (FVIII) som i februari 2023 godkändes av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för rutinprofylax och vid-behovsbehandling för att kontrollera blödningar, samt perioperativ hantering av blödningar, för vuxna och barn med hemofili A. ALTUVIIIIO beviljades som första FVIII-behandling genombrotsstatus av FDA i maj 2022 - samt erhöll även s.k. Fast Track-status i februari 2021 och sär-läkemedelsstatus 2017. Europeiska kommissionen beviljade sär-läkemedelsstatus i juni 2019, och europeiska läkemedelsmyndigheten EMA, validerade ansökan om marknadsgodkännande (MAA) för efanesoctocog alfa i maj 2023.

Om XTEND-Kids

XTEND-Kids-studien (NCT04759131) var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik för ALTUVIIIIO administrerad en gång i veckan hos tidigare behandlade patienter under 12 år med svår hemofili A. Patienterna fick profylax med ALTUVIIIIO en gång i veckan (50 IE/kg) i 52 veckor, vilket gav långvarigt höga FVIII-nivåer under hela det veckovisa doseringsintervallet med en median årlig blödningsfrekvens (ABR) på 0,00 (kvartilavstånd: (0,00–1,02) och en uppskattad genomsnittlig årlig blödningsfrekvens (95% KI) ABR på 0,89 (0,56–1,42). Det primära effektmåttet var förekomst av inhibitorer (baslinje till 52 veckor). Inga inhibitorer observerades i denna studie.

Om det kliniska programmet XTEND

Det kliniska XTEND-programmet består av två fas 3-studier inom hemofili A: XTEND-1 för personer som är 12 år eller äldre och XTEND-Kids för barn under 12 år. Därtill finns en pågående förlängningsstudie (XTEND-ed).

Fas 3-studien XTEND-1 (NCT04161495) var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som bedömer säkerhet, effekt och farmakokinetik av veckovis dosering av ALTUVIIIIO hos personer som är 12 år eller äldre (n=159) med svår hemofili A och som tidigare behandlats med en faktor VIII-ersättningsterapi. Studien omfattade två parallella behandlingsarmar – en profylaxarm A (n=133), där patienter som tidigare fått faktor VIII-profylax fick intravenös profylaxbehandling med ALTUVIIIIO (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 ALTUVIIIIO (50 IE/kg) och sedan övergick till profylaxbehandling en gång i veckan (50 IE/kg) i ytterligare 26 veckor.

Det primära effektmåttet i XTEND-1 var årlig blödningsfrekvens, ABR, i arm A. Det huvudsakliga sekundära effektmåttet var en intrapatient-jämförelse av ABR vid veckovis profylax med ALTUVIIIIO jämfört med ABR vid tidigare faktor VIII-profylax för en undergrupp deltagare i arm A som deltagit i en tidigare observationsstudie (studie 242HA201/OBS16221).

Fas 3-studien XTEND-Kids (NCT04759131) var en öppen, icke-randomiserad interventionsstudie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av veckovis dosering av ALTUVIIIIO hos personer under 12 år med svår hemofili A. Patienterna erhöll profylax med ALTUVIIIIO en gång i veckan (50 IE/kg) under 52 veckor. Det primära effektmåttet var förekomst av inhibitorer.

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 ALTUVIII O i USA. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera Elocta och Alprolix på sina marknader, i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt de flesta marknader i Mellanöstern. Sanofi äger slutliga utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter 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. De 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

Om Sobi®

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta och svåra 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](#).