

CHMP rekommenderar godkännande av TRYNGOLZA® (olezarsen) för familjär kylomikronemi (FCS) i EU

- *Rekommendationen baseras på resultat från fas 3-studien Balance som visade en signifikant minskning av triglycerinivåer och en betydande minskning av akut pankreatit med TRYNGOLZA*
- *Europeiska kommissionens beslut väntas under fjärde kvartalet 2025*

Sobi® (STO: SOBI) och Ionis Pharmaceuticals, Inc. meddelade idag att Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) har givit ett positivt utlåtande om TRYNGOLZA® (olezarsen) som ett komplement till diet för behandling av vuxna patienter med genetiskt bekräftad familjär kylomikronemi (FCS). Det positiva utlåtandet går nu vidare till Europeiska kommissionen för godkännandebeslut, vilket väntas under fjärde kvartalet 2025.

Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi säger: "Rekommendationen om godkännande tar oss ett steg närmare att göra TRYNGOLZA tillgängligt för personer med FCS i EU och vittnar om vårt långvariga stöd och engagemang för alla som lever med eller berörs av FCS. Patienter med FCS drabbas ofta av komplikationer såsom akut pankreatit. Akut pankreatit ett mycket allvarligt tillstånd som ofta kräver intensivvård och som ibland leder till multiorgansvikt samt ökad sjuklighet och dödlighet. Vi bedömer att TRYNGOLZA har potential att bli en viktig behandling för personer som lever med denna sällsynta och allvarliga sjukdom, och vi ser fram emot det slutliga beslutet från EU-kommissionen senare i år."

"Tillsammans med den framgångsrika tidiga lanseringen av TRYNGOLZA i USA stärker det positiva utlåtandet från CHMP vårt engagemang att utöka tillgången till TRYNGOLZA globalt", säger Brett P. Monia, PhD, vd för Ionis. "TRYNGOLZA har en stark klinisk profil med en signifikant minskning av triglyceridnivåer och en betydande minskning av akut pankreatit, samt en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil. I kombination med Sobis gedigna kommersiella marknadsexpertis inom FCS har TRYNGOLZA potential att göra verklig skillnad för personer som lever med FCS i EU."

Utlåtandet från CHMP baseras på positiva data från fas 3-studien Balance, i vilken TRYNGOLZA visade en statistiskt signifikant minskning av triglyceridnivåerna vid sex månader, en minskning som kvarstod under de tolv månader som studien pågick. Dessutom visade TRYNGOLZA en betydande och kliniskt relevant minskning av akuta pankreatiter under tolv månadersperioden. TRYNGOLZA hade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil. Resultat från studien publicerades i *The New England Journal of Medicine (NEJM)*.

FCS är en sällsynt, genetisk form av svår hypertriglyceridemi (sHTG) som hindrar kroppen från att bryta ned fett och kraftigt försämrar förmågan att avlägsna triglycerider från blodet. Personer med FCS har ofta triglyceridnivåer på över 880 mg/dl (10 mmol/l), jämfört med normala nivåer på under 150 mg/dl (1,7 mmol/l), och löper hög risk att utveckla akut pankreatit, vilket kan vara livshotande. I EU beräknas FCS drabba upp till 13 personer på miljonen.

Sobi har exklusiva rättigheter att kommersialisera TRYNGOLZA i länder utanför USA, Kanada och Kina. Som Ionis nuvarande europeiska kommersialiseringspartner för Waylivra (volanesorsen), det enda idag godkända läkemedlet för FCS inom EU, kan Sobi dra nytta av sin marknadsexpertis och sina befintliga distributionskanaler för att driva en effektiv lansering av TRYNGOLZA vid FCS, om det godkänns.

TRYNGOLZA godkändes i USA i december 2024 och beviljades sär-läkemedelsstatus i EU. Olezarsen utvärderas också för behandling av svår hypertriglyceridemi (sHTG), ett allvarligt tillstånd som kännetecknas av farligt höga triglyceridnivåer (≥ 500 mg/dl), och data från fas 3-studierna CORE och CORE2 väntas under tredje kvartalet 2025.

Om studien Balance

Fas 3-studien Balance är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, global multicenterstudie som utvärderar effekt och säkerhet av olezarsen hos patienter med FCS vid 6 och 12 månader. Det primära effektmåttet var den procentuella förändringen i triglyceridnivåerna i fastande tillstånd vid 6 månader, jämfört med placebo. Sekundära effektmått omfattade bland annat procentuell förändring i triglyceridnivåer vid 12 månader, procentuella förändringar i andra lipidparametrar och verifierad frekvens av akuta pankreatiter under behandlingsperioden. Efter avslutad behandling och slutförda prövningsbedömningar erbjöds patienterna att delta i en öppen förlängningsstudie där olezarsen gavs var fjärde vecka.

Om familjär kylomikronemi (FCS)

FCS är en sällsynt genetisk sjukdom som kännetecknas av extremt höga nivåer av triglycerider. Den orsakas av nedsatt funktion av enzymet lipoproteinlipas (LPL). På grund av begränsad LPL-produktion eller LPL-funktion kan personer med FCS inte effektivt bryta ner kylomikroner, lipoproteinpartiklar som till 90 procent utgörs av triglycerider. Personer som lever med FCS löper ökad risk att drabbas av akut pankreatit utöver andra kroniska hälsoproblem som trötthet och svår, återkommande buksmärta. Personer som lever med FCS är ibland oförmögna att arbeta, vilket ökar sjukdomsburden.

Om TRYNGOLZA® (olezarsen)

TRYNGOLZA® är ett RNA-inriktat läkemedel som är utformat för att sänka kroppens produktion av apoC-III, ett leverproducerat protein som är en viktig regulator av triglyceridmetabolismen. TRYNGOLZA® (olezarsen) är godkänt i USA som ett komplement till diet för att minska triglyceridnivåerna hos vuxna med familjär kylomikronemi (FCS). Mer information om TRYNGOLZA, finns på [TRYNGOLZA.com](https://www.tryngolza.com). TRYNGOLZA är ännu inte godkänt för någon indikation i Europa.

VIKTIG SÄKERHETSINFORMATION

KONTRAINDIKATIONER

TRYNGOLZA är kontraindicerat hos patienter med tidigare allvarlig överkänslighet mot TRYNGOLZA eller något hjälpämne i TRYNGOLZA. Överkänslighetsreaktioner som krävt medicinsk behandling har förekommit.

VARNINGAR OCH FÖRSIKTIGHET

Överkänslighetsreaktioner

Överkänslighetsreaktioner (bland annat symtom på bronkospasm, diffust erytem, ansiktssvullnad, urtikaria, frossa och myalgi) har rapporterats hos patienter som behandlats med TRYNGOLZA. Informera patienterna om tecken och symtom på överkänslighetsreaktioner och uppmana dem att omedelbart söka läkarvård och avbryta behandlingen med TRYNGOLZA om sådana reaktioner inträffar.

BIVERKNINGAR

De vanligaste biverkningarna (förekomst hos >5 % av patienter behandlade med TRYNGOLZA och >3 % högre frekvens än placebo) var reaktioner vid injektionsstället, minskat antal trombocyter och artralgi.

För mer information, se den fullständiga [förskrivningsinformationen](#) för TRYNGOLZA i USA.

Om Sobi

Sobi är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande innovationer och ger personer som lever 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 [LinkedIn](#).

Kontakter

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