

FDA accepterar ansökan om marknadsgodkännande av NASP för patienter med okontrollerad gikt

- *Ansökan inkluderar resultat från de pivotala studierna DISSOLVE I och II*
- *FDA har satt måldatum för beslut, PDUFA, till den 27 juni 2026*

Sobi® (STO: SOBI), ett globalt biofarmabolag inriktat på att göra innovativa behandlingar tillgängliga för patienter med sällsynta sjukdomar, meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) har accepterat ansökan om marknadsgodkännande av Nanoencapsulated Sirolimus plus Pegadricase (NASP), tidigare benämnt SEL-212, för behandling av okontrollerad gikt. NASP är en ny infusionsbehandling som administreras var fjärde vecka och består av nanoencapsulated sirolimus, som har en riktad immunmodulerande effekt, och pegadricase, ett pegylerat urikas. FDA har satt måldatum för beslut (PDUFA) till den 27 juni 2026.

NASP har potential att erbjuda betydande framsteg för denna patientpopulation som idag har stora ouppfyllda behov och begränsade behandlingsalternativ.

"Det finns ett fortsatt stort medicinskt behov hos patienter som lever med okontrollerad gikt", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Personer som lever med okontrollerad gikt har kronisk inflammation som ofta resulterar i akuta giktattacker och ansamling av urinsyra, vilket leder till att smärtsam tofi bildas. Dessa kliniska manifestationer påverkar inte bara patientens fysiska och psykiska livskvalitet utan även deras samsjuklighet. Vi bedömer att NASP kan erbjuda ett nytt alternativ för patienter som är otillräckligt kontrollerade med konventionell behandling och ser fram emot ett nära samarbete med FDA för att göra denna urikasbaserade behandling tillgänglig för patienter så snabbt som möjligt."

Ansökan inkluderade [resultat](#) från fas 3-studierna DISSOLVE I & II, placebokontrollerade, randomiserade kliniska prövningar som utvärderade säkerhet och effekt av två olika dosnivåer av NASP hos vuxna patienter med okontrollerad gikt. Båda studierna uppnådde sitt primära effektmått, en bibehållen sänkning av uratnivån i serum (sUA) till <6mg/dL under minst 80% av tiden under månad sex. I studierna DISSOLVE I och II var de poolade svarsfrekvenserna 51% med hög dos av NASP respektive 43% med låg dos.

Utöver att det primära effektmåttet uppnåddes, ledde NASP-behandling till en snabb och bibehållen sänkning av uratnivåerna i serum (sUA) redan efter den första behandlingen och under hela studiens gång. Förbättringar av viktiga kliniska manifestationer observerades också, inklusive upplösning av tofi och en minskning av akuta giktattacker över tid, samt förbättrad patientrapporterad livskvalitet. NASP tolererades överlag väl i båda dosnivåerna under de kliniska prövningarna.

I maj 2024 beviljade den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA snabbspår (Fast Track-status) för NASP, vilket är ett erkännande av dess potential att tillgodose ett betydande medicinskt behov vid ett allvarligt tillstånd med begränsade behandlingsalternativ.

Om okontrollerad gikt

Gikt är den vanligaste formen av inflammatorisk artrit och över 8,3 miljoner människor i USA har fått diagnosen. Gikt orsakas av höga nivåer urinsyra i kroppen som ansamlas runt lederna och andra vävnader vilket kan leda till akuta attacker med intensiv smärta. Cirka 200 000 personer i USA lider av okontrollerad gikt, med uratnivåer i serum (sUA) om över 6 mg/dL trots behandling med orala uratsänkande behandlingar. Detta leder till funktionsnedsättande attacker och tofi. Förhöjda uratnivåer i serum har också förknippats med sjukdomar i hjärta, kärlsystem, metabolism, njure och leder.

Om NASP, tidigare benämnt SEL-212

NASP är ett nytt läkemedel under utveckling med syfte att minska uratnivåerna i serum (sUA) hos personer som lever med okontrollerad gikt. Det kan potentiellt minska skadliga ansamlingar av urat i vävnaderna. Dessa kan, om de lämnas obehandlade, leda till funktionsnedsättande giktattacker och leddeformation. NASP administreras var fjärde vecka som en sekventiell, tvåkomponents infusionsbehandling bestående av tolerogen nanoencapsulated sirolimus (NAS) som minskar bildandet av anti-läkemedelsantikroppar (ADAs) och ett urikasenzym, pegadrikas (P), som minskar urinsyra i serum. Anti-läkemedels antikroppar, ADAs, utvecklas på grund av ett oönskat immunsvaret mot biologiska läkemedel, vilket kan minska behandlingens effektivitet och tolerabilitet. Detta är ett kvarstående problem för många behandlingsmetoder och sjukdomstillstånd, inklusive okontrollerad gikt.

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](https://www.linkedin.com/company/sobi).

Kontakter

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