

## Το ιατρικό περιοδικό *New England Journal of Medicine* δημοσιεύει θετικά τελικά αποτελέσματα από τη μελέτη Φάσης 1/2a του BIVV001 σε άτομα με σοβαρή αιμορροφιλία A

- Το BIVV001 είναι η πρώτη ερευνητική θεραπεία παράγοντα VIII, ανεξάρτητη από τον Παράγοντα von Willebrand, με προοπτική να αλλάξει τη θεραπεία αντικατάστασης για άτομα με αιμορροφιλία A
- Είναι μοναδικά σχεδιασμένο για να εξασφαλίζει σχεδόν φυσιολογικά επίπεδα δραστηριότητας του παράγοντα κατά το μεγαλύτερο μέρος της εβδομάδας, παρατείνοντας την προστασία από αιμορραγίες μέσω μίας δόσης χορηγούμενης άπαξ εβδομαδιαίως
- Αποτελέσματα από τη μελέτη Φάσης 1/2a έδειξαν ότι μία μοναδική δόση του BIVV001 πέτυχε να διατηρήσει υψηλή δραστηριότητα του παράγοντα και τριπλάσια έως τετραπλάσια αύξηση του χρόνου ημίσειας ζωής σε σύγκριση με συμβατικές θεραπείες αντικατάστασης παράγοντα VIII

**ΠΑΡΙΣΙ και ΣΤΟΚΧΟΛΜΗ – 10 Σεπτεμβρίου 2020** –Το ιατρικό περιοδικό [\*New England Journal of Medicine\*](#) δημοσίευσε σήμερα θετικά τελικά αποτελέσματα από τη μελέτη Φάσης 1/2a για την αξιολόγηση της ασφάλειας, της ανεκτικότητας και της φαρμακοκινητικής του BIVV001 (rFVIII Fc-VWF-XTEN) σε ενήλικες ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A. Το BIVV001 αποτελεί μία ερευνητική θεραπεία παράγοντα VIII που έχει σχεδιαστεί για να προσφέρει υψηλότερη προστασία από αιμορραγίες, με σχήμα προφυλακτικής θεραπείας χορηγούμενης άπαξ εβδομαδιαίως. Η Sanofi και η Sobi (STO:SOBI) συνεργάζονται για την ανάπτυξη και την εμπορική διάθεση του BIVV001.

*«Το BIVV001 αντιπροσωπεύει μια δυνητική νέα κατηγορία θεραπειών υποκατάστασης παράγοντα VIII. Η διατήρηση των επιπέδων δραστηριότητας του παράγοντα, καθώς και η τριπλάσια έως τετραπλάσια αύξηση στον χρόνο ημίσειας ζωής που παρατηρήθηκαν, υπογραμμίζουν τη δυνατότητά του να εξασφαλίσει σχεδόν φυσιολογική προστασία από αιμορραγίες, μειώνοντας τη συχνότητα χορήγησης δόσης της προφυλακτικής θεραπείας σε μία φορά την εβδομάδα» δήλωσε η Barbara A. Konkle, MD, κύρια ερευνήτρια και Chief Scientific Officer της Bloodworks Northwest και καθηγήτρια Ιατρικής/Αιματολογίας στο Πανεπιστήμιο της Ουάσιγκτον. «Αυτά τα αποτελέσματα υποστηρίζουν το συμπέρασμα ότι το BIVV001 ενδέχεται να αποτελεί σημαντική εξέλιξη για τους ασθενείς και ανυπομονούμε να το διερευνήσουμε περαιτέρω στο πλαίσιο της συνεχιζόμενης μελέτης Φάσης 3».*

## Αποτελέσματα μελέτης Φάσης 1/2a

Η EXTEN-A είναι μια ανοικτή, πολυκεντρική μελέτη που αξιολόγησε την ασφάλεια, την ανεκτικότητα και τη φαρμακοκινητική του BIVV001 σε κοόρτη δόσης και των 25 IU/kg (n=6) και των 65 IU/kg (n=8), ατόμων ηλικίας 19-63 ετών με σοβαρή αιμορροφιλία A (NCT03205163). Στη μελέτη, οι συμμετέχοντες έλαβαν μία μοναδική δόση συμβατικού ανασυνδυασμένου παράγοντα VIII (rFVIII) ακολουθούμενη από μια περίοδο έκπλυσης, είτε μία δόση 25 IU/kg ή μία δόση 65 IU/kg του BIVV001. Τα πρωτεύοντα καταληκτικά σημεία περιλάμβαναν την εμφάνιση ανεπιθύμητων ενεργειών και την ανάπτυξη αναστολέων. Τα κύρια ευρήματα περιλάμβαναν τα εξής:

- Το BIVV001 ήταν γενικά καλώς ανεκτό, χωρίς ανίχνευση ανάπτυξης αναστολέων σε διάστημα 28 ημερών μετά τη χορήγηση της δόσης. Κατά τη διάρκεια της περιόδου της μελέτης δεν αναφέρθηκαν ανεπιθύμητες ενέργειες αλλεργικών αντιδράσεων, αναφυλαξίας ή κλινικά σημαντικές ανεπιθύμητες ενέργειες σχετιζόμενες με τη θεραπεία.
- Στην κοόρτη δόσης των 65 IU/kg, μία μοναδική δόση του BIVV001 πέτυχε χρόνο ημίσειας ζωής του FVIII ίσο με 43 ώρες, δηλαδή παραπάνω από τριπλάσια αύξηση σε σχέση με τον χρόνο ημίσειας ζωής 13 ωρών που παρατηρήθηκε με τον rFVIII. Το μέσο επίπεδο δραστηριότητας παράγοντα VIII ήταν  $\geq 51\%$  και εντός του φυσιολογικού εύρους για τέσσερις ημέρες, καθώς και 17% επτά ημέρες μετά την έγχυση του BIVV001.
- Στην κοόρτη των 25 IU/kg, μία μοναδική δόση του BIVV001 πέτυχε χρόνο ημίσειας ζωής του FVIII ίσο με 38 ώρες, δηλαδή τετραπλάσια αύξηση σε σχέση με τον χρόνο ημίσειας ζωής των 9 ωρών που παρατηρήθηκε με τον παράγοντα rFVIII, με μέσο επίπεδο δραστηριότητας του παράγοντα 5% επτά ημέρες μετά την έγχυση του BIVV001.

Τα επίπεδα δραστηριότητας του παράγοντα αντιστοιχούν στην ποσότητα του παράγοντα VIII που ανιχνεύεται στο αίμα ενός ατόμου, χρησιμοποιούνται δε για τον καθορισμό της βαρύτητας της νόσου. Οι συμμετέχοντες που είναι ενταγμένοι στη μελέτη EXTEN-A παρουσιάζουν σοβαρή αιμορροφιλία A (επίπεδα παράγοντα  $< 1\%$ ). Η μέτρια αιμορροφιλία A χαρακτηρίζεται από επίπεδα παράγοντα 1-5%, ενώ η ήπια αιμορροφιλία A από επίπεδα παράγοντα 5-40%.

## Δυνατότητα μετασχηματισμού της θεραπείας υποκατάστασης παράγοντα για την αιμορροφιλία A

Ο χρόνος ημίσειας ζωής της συμβατικής θεραπείας παράγοντα VIII περιορίζεται από το φαινόμενο της σαπερόνης (μοριακού συνοδού) του παράγοντα von Willebrand (VWF), που θεωρείται ότι περιορίζει τον χρόνο παραμονής του παράγοντα στο ανθρώπινο σώμα. Το BIVV001 είναι η πρώτη υπό ανάπτυξη θεραπεία παράγοντα VIII η οποία έδειξε ότι υπερβαίνει το ανώτατο όριο του παράγοντα VWF, επιτρέποντας έτσι την πιθανή εξασφάλιση φυσιολογικών επιπέδων δραστηριότητας του παράγοντα σε άτομα με αιμορροφιλία A κατά το μεγαλύτερο μέρος της εβδομάδας.

*«Στο πλαίσιο της συνολικής μας δέσμευσης προς τα άτομα με αιμορροφιλία, είμαστε ενθουσιασμένοι από τις κλινικές δυνατότητες του BIVV001, οι οποίες*

*υπερβαίνουν τους περιορισμούς που επιβάλλουν οι τρέχουσες θεραπείες παράγοντα VIII» δήλωσε ο Dietmar Berger, Global Head of Development και Chief Medical Officer της Sanofi. «Η δημοσίευση στο περιοδικό New England Journal of Medicine αυτών των πρώιμων αποτελεσμάτων υποστηρίζει την πιθανότητα μεγαλύτερης προστασίας και για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα για τα άτομα με αιμορροφιλία με τη χορήγηση του BIVV001, γεγονός που θα μπορούσε να τους επιτρέψει να ζουν μια πιο δραστήρια ζωή. Ανυπομονούμε να ανακοινώσουμε μελλοντικά δεδομένα, καθώς συνεχίζουμε να αξιολογούμε το BIVV001 στο στάδιο ανάπτυξης Φάσης 3».*

*«Η θεραπεία υποκατάστασης παράγοντα VIII παραμένει ο ακρογωνιαίος λίθος στο πεδίο της αιμορροφιλίας A και αποτελεί μία μοναδική θεραπεία που μπορεί να χρησιμοποιηθεί στο πλαίσιο πολλών θεραπευτικών επιλογών, όπως η προφύλαξη, ο έλεγχος οξείας αιμορραγίας και η περιεγχειρητική διαχείριση» δήλωσε ο Ravi Rao, Επικεφαλής Έρευνας & Ανάπτυξης και Chief Medical Officer της Sobi. «Το BIVV001 έχει τη δυνατότητα να προάγει περαιτέρω τη θεραπεία υποκατάστασης παράγοντα προσφέροντας στους ασθενείς και τους ιατρούς σχεδόν φυσιολογικά επίπεδα παράγοντα κατά το μεγαλύτερο μέρος της εβδομάδας, μειώνοντας παράλληλα την επιβάρυνση λόγω της θεραπείας. Ανυπομονούμε να το διερευνήσουμε περαιτέρω στο πλαίσιο της μελέτης Φάσης 3».*

### **Μελέτη XTEND-1 Φάσης 3**

Η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητα του BIVV001 βρίσκονται αυτή τη στιγμή υπό αξιολόγηση στο πλαίσιο της συνεχιζόμενης μελέτης Φάσης 3 XTEND-1 σε ασθενείς με σοβαρή αιμορροφιλία A, που είχαν προηγουμένως λάβει θεραπεία, ηλικίας  $\geq 12$  ετών (n=150). Η μελέτη XTEND-1 είναι μια ανοικτή, μη τυχαιοποιημένη, παρεμβατική μελέτη με δύο σκέλη παράλληλης συμμετοχής. Οι συμμετέχοντες στο σκέλος της προφύλαξης θα λάβουν μια εβδομαδιαία δόση προφύλαξης 50 IU/kg του BIVV001 για 52 εβδομάδες. Οι συμμετέχοντες στο σκέλος της κατ' απαίτηση θεραπείας θα λάβουν το BIVV001 (50 IU/kg) κατ' απαίτηση για 26 εβδομάδες και ακολούθως θα μεταβούν σε εβδομαδιαία δόση προφύλαξης του BIVV001 για 26 εβδομάδες.

### **Σχετικά με το BIVV001**

Το BIVV001 (rFVIIIIFc-VWF-XTEN) είναι μια νέα, ερευνητική θεραπεία ανασυνδυασμένου παράγοντα VIII που έχει σχεδιαστεί για την επέκταση της προστασίας από αιμορραγίες με χορήγηση μίας άπαξ εβδομαδιαίας προφυλακτικής δόσης για άτομα με αιμορροφιλία A. Το BIVV001 αξιοποιεί την καινοτόμο τεχνολογία σύντηξης Fc, προσθέτοντας μια περιοχή του παράγοντα von Willebrand και πολυπεπτίδια XTEN προκειμένου να παρατείνει τον χρόνο παραμονής του στην κυκλοφορία. Πρόκειται για την πρώτη ερευνητική θεραπεία παράγοντα VIII που έχει δείξει ότι υπερβαίνει το ανώτατο όριο του παράγοντα von Willebrand, το οποίο περιορίζει τον χρόνο ημίσειας ζωής των τρεχουσών θεραπειών παράγοντα VIII. Το BIVV001 έλαβε τον χαρακτηρισμό ορφανού φαρμάκου από τον Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) των ΗΠΑ τον Αύγουστο του 2017 και από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή τον Ιούνιο του 2019. Το BIVV001 βρίσκεται υπό κλινική έρευνα, ενώ η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητά του δεν έχουν αξιολογηθεί από κάποια ρυθμιστική αρχή.

### **Σχετικά με τη Sobi**

Η Sobi είναι μια εξειδικευμένη διεθνής βιοφαρμακευτική εταιρεία που μεταμορφώνει τη ζωή ατόμων με σπάνιες παθήσεις. Η Sobi παρέχει βιώσιμη πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες στους τομείς της αιματολογίας, της ανοσολογίας και εξειδικευμένων ενδείξεων. Σήμερα, η Sobi διαθέτει περίπου 1.400 εργαζόμενους στην Ευρώπη, τη Βόρεια Αμερική, τη Μέση Ανατολή, τη Ρωσία και τη Βόρεια Αφρική. Το 2019, τα έσοδα της Sobi ανήλθαν σε 14,2 δισεκατομμύρια SEK (κορώνες Σουηδίας). Η μετοχή της Sobi (STO:SOBI) είναι εισηγμένη στο χρηματιστήριο Nasdaq της Στοκχόλμης. Μπορείτε να βρείτε περισσότερες πληροφορίες για τη Sobi στη διεύθυνση [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

### **Σχετικά με τη Sanofi**

Η Sanofi έχει αφοσιωθεί στην υποστήριξη των ανθρώπων μέσω της αντιμετώπισης των προκλήσεων της υγείας τους. Είμαστε μια παγκόσμια βιοφαρμακευτική εταιρεία που εστιάζει στην ανθρώπινη υγεία. Προλαμβάνουμε τις ασθένειες με εμβόλια και προσφέρουμε καινοτόμες θεραπείες που αμβλύνουν τον πόνο και μετριάζουν την καταπόνηση. Στεκόμαστε δίπλα τόσο στους λίγους που πάσχουν από σπάνιες παθήσεις, όσο και στα εκατομμύρια ανθρώπων που ζουν με μακροχρόνιες παθήσεις. Με περισσότερους από 100.000 εργαζόμενους σε 100 χώρες, η Sanofi μετατρέπει την επιστημονική καινοτομία σε λύσεις για την υγεία σε ολόκληρο τον κόσμο.

Sanofi, Empowering Life, Ενδυναμώνοντας τη Ζωή

[www.sanofi.com](http://www.sanofi.com)

[www.sanofi.gr](http://www.sanofi.gr)

### **Τμήμα Επικοινωνίας Sanofi Ελλάδας**

Vedrana Sokac Brataljenovic

Τηλ: 210 9001600

[info.greece@sanofi.com](mailto:info.greece@sanofi.com)