



El New England Journal of Medicine publica los resultados finales positivos del estudio de fase 1/2a de BIVV001 en personas con hemofilia A grave

- * BIVV001 es la primera terapia de factor VIII en investigación independiente del factor von Willebrand y tiene el potencial de transformar la terapia de reemplazo para personas con hemofilia A
- * Tiene un diseño único para brindar niveles de actividad de factor casi normales durante la mayor parte de la semana, prolongando la protección contra hemorragias con una dosis semanal
- * Los resultados del estudio de Fase 1/2a mostraron que una dosis única de BIVV001 logró una alta actividad sostenida del factor y un aumento de tres a cuatro veces en la vida media en comparación con las terapias convencionales de reemplazo del factor VIII.

PARÍS y ESTOCOLMO - 10 de septiembre de 2020 –El [*New England Journal of Medicine*](#) publicó el día de hoy los resultados finales positivos del estudio de fase 1/2a que evalúa la seguridad, tolerabilidad y farmacocinética de BIVV001 (rFVIII Fc-VWF-XTEN) en pacientes adultos con hemofilia A grave. BIVV001 es una terapia de factor VIII de investigación diseñada para proporcionar una mayor protección contra hemorragias en un régimen de tratamiento profiláctico semanalmente. Sanofi y Sobi™ (STO:SOBI) colaboran en el desarrollo y comercialización de BIVV001.

“BIVV001 representa una nueva clase potencial de terapias de reemplazo del factor VIII. Los niveles sostenidos de actividad del factor y el aumento de tres a cuatro veces en la vida media observados subrayan su potencial para proporcionar protección casi normal contra hemorragias al tiempo que reduce la frecuencia de dosificación de un tratamiento profiláctico semanal”, dijo Barbara A. Konkle, MD, investigadora principal y Directora Científica de Bloodworks Northwest y profesora de medicina/hematología de la Universidad de Washington. *“Estos resultados apoyan la conclusión de que BIVV001 puede ser un avance significativo para los pacientes y esperamos seguir explorando esto en el estudio de fase 3 en curso.”*

Resultados del estudio de fase 1/2a

EXTEN-A es un estudio abierto multicéntrico que evaluó la seguridad, tolerabilidad y farmacocinética de BIVV001 en dosis de 25 UI/kg (n=6) y 65 UI/kg (n=8) de un grupo de participantes de 19-63 años con hemofilia A grave (NCT03205163). En el estudio, los participantes recibieron una dosis única de factor VIII recombinante convencional (rFVIII) seguida, después de un período de lavado, de una dosis única de 25 UI/kg o 65 UI/kg de BIVV001. Los parámetros primarios incluyeron la aparición de eventos adversos y el desarrollo de inhibidores. Hallazgos clave incluidos:

- BIVV001 fue generalmente bien tolerado y no se detectó desarrollo de inhibidores durante los 28 días posteriores a la dosis. Durante el período de

estudio no se reportaron eventos adversos como reacciones alérgicas, anafilaxia o eventos adversos clínicamente significativos relacionados con el tratamiento.

- En el grupo de dosis de 65 UI/kg, una dosis única de BIVV001 logró una vida media de FVIII de 43 horas, un aumento de más de tres veces respecto de la vida media de 13 horas observada con rFVIII. El nivel de actividad del factor VIII medio fue $\geq 51\%$ y en el rango normal durante cuatro días, y 17% a los siete días después de la infusión de BIVV001.
- En grupo de 25 UI/kg, una dosis única de BIVV001 logró una vida media de FVIII de 38 horas, un aumento de cuatro veces con respecto a la vida media de 9 horas observada con rFVIII, con un nivel de actividad del factor medio del 5% a los siete días después de la infusión de BIVV001.

Los niveles de actividad del factor se refieren a la cantidad de factor VIII en la sangre de una persona y se utilizan para determinar la gravedad de la enfermedad de una persona. Los participantes inscritos en el estudio de EXTEN-A sufren de hemofilia A grave (niveles de factor $< 1\%$). La hemofilia A moderada se caracteriza por niveles de factor del 1 al 5% y la hemofilia A leve es del 5 al 40%.

Potencial para transformar la terapia de reemplazo de factor para la hemofilia A

La vida media de la terapia convencional de factor VIII está limitada por el efecto acompañante del factor von Willebrand (VWF), que se cree que limita el tiempo que el factor permanece en el cuerpo. BIVV001 es la primera terapia de factor VIII en desarrollo que se ha demostrado que supera el límite del VWF, lo que permite que las personas con hemofilia A se muevan potencialmente hacia niveles normales de actividad del factor durante la mayor parte de la semana.

“Como parte de nuestro compromiso general con la comunidad de hemofilia, estamos entusiasmados con el potencial clínico de BIVV001 para superar las limitaciones de las terapias de factor VIII actuales”, dijo Dietmar Berger, Director Global de Desarrollo y Director Médico de Sanofi. “La publicación de estos primeros resultados en el New England Journal of Medicine respalda la posibilidad de que BIVV001 brinde a las personas con hemofilia A una mayor protección durante más tiempo, lo que podría permitirles llevar una vida más activa. Esperamos proporcionar actualizaciones futuras a medida que continuamos evaluando BIVV001 en el desarrollo de la Fase 3.”

“La terapia de reemplazo de factor VIII sigue siendo una piedra angular de la atención de la hemofilia A y es una terapia única que se puede utilizar en numerosos escenarios de tratamiento que incluyen profilaxis, control de hemorragias agudas y manejo perioperativo”, dijo Ravi Rao, Director de I+D y Director Médico de Sobi. “BIVV001 tiene el potencial de avanzar aún más en la terapia de reemplazo de factor al ofrecer a los pacientes y médicos niveles de factor casi normales durante la mayor parte de la semana mientras se reduce la carga del tratamiento. Esperamos seguir explorando esto en el estudio de fase 3.”

Estudio de fase 3 XTEND-1

La seguridad y eficacia de BIVV001 se está evaluando actualmente en el estudio de fase 3 XTEND-1 en curso en pacientes ≥ 12 años de edad (n=150) previamente tratados con hemofilia A grave. XTEND-1 es un estudio de intervención abierto, no aleatorio con dos brazos de asignación paralelos. Los participantes del brazo de profilaxis recibirán

una dosis de profilaxis semanal de 50 UI/kg de BIVV001 durante 52 semanas. Los participantes en el brazo de demanda recibirán BIVV001 (50 UI/kg) a solicitud durante 26 semanas, seguido de un cambio a profilaxis semanal con BIVV001 durante otras 26 semanas.

Sobre BIVV001

BIVV001 (rFVIIIIFc-VWF-XTEN) es una terapia de factor VIII recombinante innovadora y en investigación que está diseñada para extender la protección contra hemorragias con una dosis profiláctica semanal para personas con hemofilia A. BIVV001 se basa en la innovadora tecnología de fusión Fc al agregar una región del factor von Willebrand y polipéptidos XTEN para extender su tiempo en circulación. Es la primera terapia con factor VIII en investigación que ha demostrado que supera el límite del factor von Willebrand, que impone un límite de vida media en las terapias actuales de factor VIII. BIVV001 recibió la designación de fármaco huérfano por parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos en agosto de 2017 y por parte de la Comisión Europea en junio de 2019. BIVV001 se encuentra actualmente bajo investigación clínica y su seguridad y eficacia no han sido revisadas por ninguna autoridad reguladora.

Sobre Sobi

Sobi es una empresa biofarmacéutica internacional especializada que transforma la vida de personas con enfermedades raras. Sobi proporciona acceso sostenible a terapias innovadoras en las áreas de hematología, inmunología e indicaciones especiales. En la actualidad, Sobi emplea aproximadamente a 1,400 personas en Europa, América del Norte, Medio Oriente, Rusia y África del Norte. En el 2019, los ingresos de Sobi ascendieron a 14.2 mil millones SEK. La acción de Sobi (STO:SOBI) cotiza en Nasdaq Stockholm. Para mayor información sobre Sobi visite www.sobi.com.

Sobre Sanofi

Sanofi se dedica a apoyar a las personas a través de sus desafíos de salud. Somos una compañía biofarmacéutica global que se enfoca en la salud humana. Prevenimos enfermedades con vacunas, brindamos tratamientos innovadores para combatir el dolor y aliviar el sufrimiento. Apoyamos a los pocos que sufren de enfermedades raras y a los millones con enfermedades crónicas de larga duración.

Con más de 100,000 personas en 100 países, Sanofi está transformando la innovación científica en soluciones de atención médica en todo el mundo.

Sanofi, Empowering Life

Contacto Relaciones con los Medios

Sally Bain
Tel.: +1 (781) 264 1091
Sally.Bain@sanofi.com

Sanofi Contacto Relaciones con Inversionistas Relaciones con Inversionistas – Contactos Paris

Eva Schaefer-Jansen
Arnaud Delepine
Yvonne Naughton

Relaciones con Inversionistas – Contactos Norte América

Felix Lauscher
Fara Berkowitz
Suzanne Greco

Relaciones con Inversionistas Línea Principal

Tel.: +33 (0)1 53 77 45 45
ir@sanofi.com
<https://www.sanofi.com/en/investors/contact>

Sobi Relaciones con los Medios

Linda Holmström
+ 46 708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

Sobi Relaciones con Inversionistas

Paula Treutiger
+ 46 733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Informes Prospectivos de Sanofi

Este comunicado de prensa contiene informes prospectivos según lo definido en la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995, según enmendada. Los informes prospectivos son informes que no son hechos históricos. Estos informes incluyen proyecciones y estimaciones y sus supuestos subyacentes, informes sobre planes, objetivos, intenciones y expectativas con respecto a resultados financieros futuros, eventos, operaciones, servicios, desarrollo y potencial de productos, e informes sobre el desempeño futuro. Los informes prospectivos generalmente se identifican con las palabras "espera", "anticipa", "cree", "pretende", "estima", "planea" y expresiones similares. Si bien la gerencia de Sanofi cree que las expectativas reflejadas en tales informes prospectivos son razonables, se advierte a los inversionistas que la información y las declaraciones prospectivas están sujetas a diversos riesgos e incertidumbres, muchas de las cuales son difíciles de predecir y generalmente están fuera del control de Sanofi, y eso podría causar que los resultados y desarrollos reales difieran materialmente de los expresados, implícitos o proyectados por la información y declaraciones prospectivas. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras cosas, las incertidumbres inherentes a la investigación y el desarrollo, los datos y análisis clínicos futuros, incluyendo la comercialización posterior, decisiones de las autoridades reguladoras, como FDA o EMA, con respecto a si se debe aprobar cualquier medicamento, dispositivo o aplicación biológica que se puede presentar para cualquiera de dichos productos candidatos, así como sus decisiones con respecto al etiquetado y otros asuntos que podrían afectar la disponibilidad o el potencial comercial de dichos productos candidatos, el hecho de que los productos candidatos si se aprueban pueden no tener éxito comercial, la futura aprobación y éxito comercial de alternativas terapéuticas, la capacidad de Sanofi de beneficiarse de oportunidades de crecimiento externo, completar transacciones relacionadas y/u obtener autorizaciones regulatorias, riesgos asociados con la propiedad intelectual y cualquier litigio pendiente o futuro relacionado y el resultado final de dicho litigio, tendencias en tipos de cambio y tasas de interés vigentes, condiciones económicas y de mercado volátiles, iniciativas de contención de costos y cambios posteriores a las mismas, y el impacto que COVID-19 tendrá en nosotros, nuestros clientes, proveedores, vendedores y otros socios comerciales, y la condición financiera de cualquiera de ellos, también como en nuestros empleados y en la economía global en general. Cualquier efecto material de COVID-19 en cualquiera de los anteriores también podría afectarnos negativamente. Esta situación está cambiando rápidamente y pueden surgir impactos adicionales de los que actualmente no somos conscientes y pueden exacerbar otros riesgos previamente identificados. Los riesgos e incertidumbres también incluyen las incertidumbres discutidas o identificadas en las presentaciones públicas ante SEC y AMF hechas por Sanofi, incluyendo las enumeradas en "Factores de riesgo" y "Declaración de Precaución sobre Informes Prospectivos" en el reporte anual de Sanofi en el Formulario 20-F para el año finalizado el 31 de diciembre de 2019. Aparte de lo requerido por la ley aplicable, Sanofi no asume ninguna obligación de actualizar o revisar ninguna información o declaración prospectiva.