

selskabsmeddelelse

Novo Nordisk indsender registreringsansøgning i USA for langtidsvirkende faktor IX til behandling af hæmofili B

Bagsværd, den 16. maj 2016 – Novo Nordisk meddeler i dag, at virksomheden har indsendt registreringsansøgning (Biologics License Application) til de amerikanske sundhedsmyndigheder (FDA) for langtidsvirkende faktor IX, nonacog beta pegol. Nonacog beta pegol er et glykopegyleret rekombinant faktor IX-præparat med en signifikant forbedret farmakokinetisk profil, udviklet til behandling af hæmofili B.

Registreringsansøgningen for nonacog beta pegol er baseret på resultaterne fra det kliniske udviklingsprogram 'paradigm', som omfattede 115 deltagere med svær eller moderat svær hæmofili B. Studierne viste, at nonacog beta pegol var virkningsfuldt til rutinemæssig forebyggende behandling, behandling af blødningsepisoder samt ved kirurgiske indgreb hos voksne, unge og børn. Nonacog beta pegol forekom endvidere at være veltolereret, og der blev ikke identificeret sikkerhedsmæssige problemer.

Nonacog beta pegol har en fem gange længere halveringstid sammenlignet med gængse faktor IX-produkter. Deltagere i paradigm-studiet opnåede et højere faktor IX-niveau i kredsløbet trods mindre hyppig dosering af nonacog beta pegol. Én ugentlig dosering på 40 IU/kg nonacog beta pegol opretholdt i fase 3-studierne et faktor IX-aktivitetsniveau på over 15%, reducerede medianværdien for den årlige blødningsfrekvens til 1,0 og viste potentiale til at forebygge blødninger i såkaldte target joints (led, der er særligt udsat for gentagne blødninger). Disse deltagere rapporterede desuden om signifikant forbedret livskvalitet i studiet.

"Med indsendelsen af registreringsansøgningerne i 2016 for vores langtidsvirkende faktor IX, er mennesker med hæmofili B både i EU og i USA kommet et skridt tættere på en ny behandlingsmulighed," siger Mads Krogsgaard Thomsen, koncerndirektør i Novo Nordisk med ansvar for forskning og udvikling. "Nonacog beta pegol har med sit høje faktoraktivitetsniveau, den mindre hyppige dosering og den reducerede blødningsfrekvens potentiale til at forbedre livskvaliteten både for patienterne og deres familie."

Om nonacog beta pegol

Nonacog beta pegol er et faktor IX-molekyle med forlænget halveringstid, der er beregnet til substitutionsbehandling hos mennesker med hæmofili B. Halveringstiden er

forlænget ved hjælp af glykopegylerings-teknikken – en ny tilgang indenfor hæmofili B, som allerede har vist sig sikker og virkningsfuld indenfor hæmofili A og andre behandlingsområder.

Om det kliniske program 'paradigm'

Det kliniske udviklingsprogram paradigm for nonacog beta pegol er gennemført blandt børn og voksne med svær eller moderat svær hæmofili B – i alt 115 tidligere behandlede patienter med sammenlagt mere end 10.625 dages eksponering for op til 3,3 års behandling med nonacog beta pegol.

Paradigm 1, farmakokinetisk studie (16 deltagere behandlet) – et enkelt dosis-eskaleringsstudie, der undersøgte sikkerhed og farmakokinetik for nonacog beta pegol sammenlignet med markedsførte rekombinante og plasmabaserede faktor IX-produkter. Nonacog beta pegol viste op til to gange forhøjet genfindelse i blodbanen, højere aktivitetsniveau og en fem gange længere halveringstid sammenlignet med eksisterende behandling.

Paradigm 2, pivotalstudie (74 deltagere behandlet, inklusive en undergruppe af deltagere fra paradigm 1-studiet) – et 52-ugers enkeltblindet, randomiseret studie, der undersøgte sikkerhed, effekt og farmakokinetik hos voksne og unge ved rutinemæssig forebyggelse og behandling af blødninger. Ved forebyggende behandling med 40 IU/kg doseret én gang ugentligt forekom nonacog beta pegol at have en sikker og veltolereret profil og viste en medianværdi for den årlige blødningsfrekvens for spontane blødninger på 0,0. Endvidere blev 97% af såkaldte breakthrough bleeds (spontane blødninger under behandlingsforløbet) stoppet, og 90% af såkaldte target joints (led, der er særligt udsat for gentagne blødninger) blev ikke længere klassificeret som sådan.

Paradigm 3, kirurgistudie (13 deltagere behandlet, inklusive en undergruppe af deltagere fra paradigm 2-studiet) – et dedikeret studie, der bekræftede sikkerhed og effekt under og efter større kirurgiske indgreb. Hos alle deltagere var en enkelt dosis forud for operationen tilstrækkeligt til at forebygge blødning, og der var ikke behov for at give yderligere doser på operationsdagen. Endvidere viste det sig, at tre doser var tilstrækkelige til at opretholde hæmostase i de første to uger efter operationen.

Paradigm 4, forlængelsesstudie (71 deltagere, som tidligere var blevet behandlet i paradigm 2- eller paradigm 3-studiet) – et sikkerhedsstudie med længere tids eksponering, der viste en veltolereret profil uden identifikation af inhibitorer (neutraliserende antistoffer) eller andre sikkerhedsmæssige signaler.

Paradigm 5, pædiatrisk studie (25 deltagere behandlet) – et 52-ugers enkeltgruppestudie, der undersøgte forebyggende behandling doseret én gang ugentligt og behandling af blødningsepisoder hos tidligere behandlede børn i alderen 1–12 år. Nonacog beta pegol forekom at have en sikker profil, og alle deltagere opretholdt et gennemsnitligt faktoraktivitetsniveau på over 15% én uge efter dosering af 40 IU/kg og en medianværdi for den årlige blødningsfrekvens på henholdsvis 0,0 og 2,0 for børn i alderen 0–6 og 7–12 år.

Yderligere information

Medier:

Katrine Sperling

+45 3079 6718

krsp@novonordisk.com

Investorer:

Peter Hugrefte Ankersen

+45 3075 9085

phak@novonordisk.com

Melanie Raouzeos

+45 3075 3479

mrz@novonordisk.com