



2020-11-23 09:37 CET

Långsiktig förebyggande behandling med Takhzyro minskar antalet attacker med 87 % för patienter med hereditärt angioödem

Finala resultat från fas III-studien HELP visar att subkutan injektion med Takhzyro (lanadelumab) hjälpte till att långsiktigt förebygga och förhindra anfall hos patienter med hereditärt angioödem (HAE). De långsiktiga resultaten överensstämde med den redan kända effekt och säkerhetsprofilen för Takhzyro från den pivotala studien. Antalet attacker reducerades med 87 % jämfört med studiestart och analys av data i efterhand visade att nästan 70 % av patienterna som behandlats med Takhzyro var annan vecka var fria från anfall under mer än 12 månader.^{1,2} För patienter med HAE är det, vid förebyggande behandling, viktigt att minska antalet anfall och om möjligt förhindra dem helt. Resultaten presenterades vid årets virtuella astma- och allergikongress ACAAI, American College of Allergy, Asthma and Immunology.

Takeda meddelade den 13 november de finala resultaten från den öppna uppföljande (Open Label Extension, OLE) delen av fas III-studien HELP (Hereditary Angioedema Long-term Prophylaxis). Resultaten visar att förebyggande behandling med Takhzyro (lanadelumab) hjälper till att långsiktigt förhindra och minska antalet anfall av hereditärt angioödem (HAE) hos patienter från tolv års ålder, som fick behandling i genomsnitt under 29,6 månader (SD: 8,2).¹

Resultaten överensstämde med den redan kända effekt och säkerhetsprofilen för Takhzyro från den pivotala studien. Antalet HAE-anfall per månad minskade i genomsnitt (medelvärde: min, max) med 87 % (-100; 852,8) totalt från studiestart (n=212), och ett förutbestämt explorativt effektmått visade

att nästan 70 % (68,9%) av patienterna behandlade med Takhzyro 300 mg varannan vecka var fria från anfall under mer än 12 månader (n=209).^{1, 2}

Resultaten presenteras vid årets virtuella astma- och allergikongress ACAAI, American College of Allergy, Asthma and Immunology, och publiceras i novembernumret av ACAAI:s tidskrift *Annals of Allergy, Asthma & Immunology*.

– Redan den ursprungliga placebokontrollerade HELP-studien visade på effekten och säkerheten med behandling av Takhzyro under 26 veckor. Nu visar även resultaten från den öppna uppföljande delen av HELP-studie att fortsatt behandling med Takhzyro upp till 2,5 år kan hjälpa till att förhindra anfall på lång sikt, vilket är mycket uppmuntrande. Fortsatt forskning, liknande den uppföljande HELP-studien, är mycket viktigt för att skapa ytterligare kunskap och förståelse för hur Takhzyro kan användas som ett långsiktigt förebyggande behandlingsalternativ för de som lever med hereditärt angioödem (HAE), säger Ulf Jersenius, medicinsk direktör Takeda.

Den ursprungliga pivotala fas III-studien HELP genomfördes under 26 veckor och inkluderade 125 patienter med hereditärt angioödem (HAE) från tolv års ålder. Studien är den största randomiserade kontrollerade profylaxstudien som någonsin har genomförts för patienter med HAE och med den längsta behandlingstiden hittills.³

Den öppna, uppföljande (Open Label Extension, OLE) delen av fas III-studien HELP syftar till att utvärdera den långsiktiga säkerheten (primärt effektmått) och effekt av behandling med Takhzyro i upp till 2,5 år. Resultaten baserades på data som samlades in mellan maj 2016 och oktober 2019, och inkluderade 109 patienter som ursprungligen utvärderades i HELP-studien samt 103 patienter som inte deltog i den initiala studien, vilka upplevt minst ett HAE-anfall de senaste 12 veckorna.¹

Resultaten från den uppföljande OLE HELP-studien visade att säkerhetsprofilen för Takhzyro var överensstämmande med resultaten från den pivotala HELP-studien. Behandlingsrelaterade biverkningar (TEAE) rapporterades hos 54,7 procent av patienterna (n=116) och vanligast var smärta vid injektionsstället, luftvägsinfektion eller huvudvärk.¹ Dessutom visade resultat från OLE HELP-studien att effekten av Takhzyro 300 mg,

administrerad subkutant varannan vecka hos patienter som deltagit i den ursprungliga HELP-studien, överensstämde med tidigare resultat i denna studie. Den genomsnittliga (min, max) minskningen av antalet HAE-anfall per månad jämfört med studiestart som observerades i studiepopulationen (n=212) var 87 % (-100; 852,8), och där cirka 93 % av patienterna upplevde en minst 70 procentig minskning av antalet HAE-anfall.¹ Ytterligare förutbestämda explorativa effektmått utvärderade tiden patienterna var fria från anfall.²

Abstract som nu presenterats från OLE HELP-studien finns tillgängliga med följande titlar på astma- och allergikongressen ACAAI:s webbplats:

- Efficacy and Safety of Lanadelumab: Final Results from the HELP Open-Label Extension Study([Poster #P150](#))
- Attack-Free Status During Extended Treatment with Lanadelumab for Hereditary Angioedema: HELP OLE Study Final Results ([Poster #P157](#))

Om OLE HELP-studien

[OLE HELP-studien](#) är en öppen, uppföljande (Open Label Extension, OLE) del av fas III-studien HELP (Hereditary Angioedema Long-term Prophylaxis – långsiktig profylax av hereditärt angioödem) som utvärderar den långsiktiga effekten och säkerheten för Takhzyro (lanadelumab) som långsiktig profylax av hereditärt angioödem (HAE) hos patienter från tolv års ålder. 212 patienter fick behandling med Takhzyro vid studiestart av OLE-HELP-studien, varav 109 patienter som ursprungligen utvärderades i HELP-studien samt 103 patienter som inte deltog i den initiala studien och vilka upplevt minst ett HAE-anfall de senaste 12 veckorna. De 109 patienterna som ursprungligen utvärderades och fortsatte få behandling i OLE-delen fick 300 mg från start och sedan varannan vecka efter att de fått sitt första anfall. De övriga 103 nya patienterna fick 300 mg från start och sedan varannan vecka. 196 av patienterna kunde behandlas i minst 12 månader och 173 i minst trettio månader.¹

Om Takhzyro (lanadelumab) subkutan injektion

TAKHZYRO (lanadelumab) ges som en subkutan injektion och är en helt human monoklonal antikropp som specifikt binder och minskar aktiviteten hos plasmakallikrein. Takhzyro godkändes 2018 inom EU som profylax för att

förhindra HAE-anfall hos patienter från tolv års ålder. Takhzyro har framställts för subkutan administrering och har en halveringstid på ungefär två veckor.⁴ Takhzyro är avsett att administreras av patienten själv eller en närstående efter att ha fått utbildning av sjukvårdspersonal.⁴

Om hereditärt angioödem (HAE)

Hereditärt angioödem (HAE) är en sällsynt genetisk sjukdom som ger återkommande ödemanfall – svullnader i olika delar av kroppen, inklusive buken, ansiktet, fötterna, könsorganen, händer och hals. Svullnaden kan vara försvagande och smärtsam.⁵⁻⁷ Anfall som sätter sig i luftvägarna kan orsaka kvävning vilket är potentiellt livshotande.^{7,8} Uppskattningsvis 1 av 50 000 människor globalt har HAE. Sjukdomen är ofta okänd, underdiagnostiserad och underbehandlad.^{5,7,8} I Sverige uppskattas cirka två personer per 100 000 invånare ha sjukdomen, vilket motsvarar omkring 200 personer.⁹

– Hereditärt angioödem (HAE) är ett livslångt tillstånd och anfall orsakade av HAE kan ha en betydande negativ inverkan på det dagliga livet. För vissa patienter är förebyggande behandling nödvändig för att minska anfallsfrekvensen. Det är positivt med en medicinsk behandlingsutveckling som satsar på att förhindra anfall vilket kan underlätta vardagen för denna utsatta patientgrupp, säger överläkare Maria Karlsson på HAE-mottagningen vid Karolinska Universitetssjukhuset i Solna.

Takedas arbete inom hereditärt angioödem

Hereditärt angioödem (HAE), är likt många andra sällsynta sjukdomar en mycket komplex diagnos. För patienter, deras familjer och vårdgivare innebär det ofta år av ansträngningar för att förstå, utreda, diagnostisera sjukdomen samt att få rätt vård och behandling. På Takeda är vi dedikerade till att stödja sjukvårdens arbete och patienter med HAE. Varje person som lever med HAE är unik. Genom att lyssna och agera utifrån varje individs specifika behov kan vi översätta dessa insikter till innovativa lösningar, från diagnos till behandling. Att främja och stötta forskning och vetenskap är avgörande för vårt sätt att arbeta och nå vårt uppdrag: att påskynda diagnosen och utveckla transformativa och hållbara behandlingar som kan göra skillnad för patienter med HAE, deras anhöriga samt sjukvården.

För mer information om Takhzyro, se www.fass.se

För mer information, vänligen kontakta

Ulf Jersenius, medicinsk direktör, ulf.jersenius@takeda.com, +46 730 60 56 88

Henry Werner, kommunikationsdirektör, Sverige och Norden, henry.werner@takeda.com, +46 8 731 28 00, +46 70 970 22 27

Läs det [engelska pressmeddelandet i sin helhet här](#).

För mer information vänligen besök: www.takeda.se eller www.takeda.com

Referenser

1. Banerji A, Hao J, Ming Y et al; Long-Term Efficacy and Safety of Lanadelumab: Final Results from the HELP Open-Label Extension Study. ACAAI 2020
2. Riedl MA, Johnston DT, Lumry WR et al; Attack-Free Status During Extended Treatment with Lanadelumab for Hereditary Angioedema: HELP OLE Study Final Results. ACAAI 2020.
3. Banerji A, Riedl MA, Bernstein JA, et al; for the HELP Investigators. Effect of lanadelumab compared with placebo on prevention of hereditary angioedema attacks: a randomized clinical trial. JAMA. 2018;320(20):2108-2121.
4. Takhzyro (lanadelumab) SPC 07/2020
5. Cicardi M, Bork K, Caballero T, et al; on behalf of HAWK (Hereditary Angioedema International Working Group). Evidence-based recommendations for the therapeutic management of angioedema owing to hereditary C1 inhibitor deficiency: consensus report of an International Working Group. Allergy. 2012; 67(2):147-157.
6. Zuraw BL. Hereditary angioedema. N Engl J Med. 2008;359(10):1027-1036.

7. Banerji A. The burden of illness in patients with hereditary angioedema. *Ann Allergy Asthma Immunol.* 2013;111(5):329-336.
8. Longhurst HJ, Bork K. Hereditary angioedema: causes, manifestations, and treatment. *Br J Hosp Med.* 2006;67(12):654-657.
9. Hereditärt angioödem och förvärvat angioödem, Socialstyrelsen 2016-02-03, <https://www.socialstyrelsen.se/stod-i-arbetet/sallsynta-halsotillstand/hereditart-angioodem-och-forvarvat-angioodem/>
-

Om Takeda

Takeda är ett ledande globalt, forsknings- och innovationsdrivet biofarmaceutiskt företag med huvudkontor i Japan. Vi koncentrerar vår framtida forskning och utveckling kring fyra områden: onkologi, gastroenterologi, centrala nervsystemet och sällsynta diagnoser, samt viss forskning specifikt inriktat mot plasmabaserade terapier och vacciner.

Vi har idag en omfattande forskningsportfölj och vi fokuserar på att utveckla läkemedel som bidrar till att göra skillnad för människor. Våra medarbetare i fler än 80 länder och regioner världen över, arbetar tillsammans med hälso- och sjukvården för att förbättra livskvaliteten för patienter.

För ytterligare information, besök www.takeda.se

Kontaktpersoner



Henry Werner

Presskontakt

kommunikationsdirektör, Sverige och Norden

henry.werner@takeda.com

+46 8 731 28 00

+46 70 970 22 27