

PRESSMEDDELANDE

Cambridge, Mass., USA och Stockholm, Sverige, 25 september 2015

Biogen och Sobi erhåller CHMP rekommendation för Elocta™ (rFVIII Fc) för behandling av hemofili A

[Biogen](#) (NASDAQ: BIIB) och [Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi\)](#) (STO: SOBI) har erhållit en rekommendation om marknadsföringstillstånd för Elocta™ från den vetenskapliga kommittén för humanläkemedel (CHMP) vid den Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Elocta (rFVIII Fc) är ett rekombinant faktor VIII Fc fusionsprotein för behandling av hemofili A. Om produkten blir godkänd, kommer den att bli den första behandlingen för hemofili A inom EU, med förlängd cirkulationstid i kroppen.

Myndighetsansökan inkluderar resultat från den kliniska fas-3 studien A-LONG som utvärderade effekten, säkerheten och farmakokinetiken för rFVIII Fc hos tidigare behandlade pojkar och män 12 år eller äldre med svår hemofili, samt från den kliniska fas-3 studien Kids A-LONG, som utvärderade effekten och säkerheten av rFVIII Fc hos tidigare behandlade barn under 12 år med svår hemofili A. Kommitténs positiva utlåtande överlämnas till EU-kommissionen (EC), som beviljar marknadsföringstillstånd för läkemedel inom EU.

"CHMP's rekommendation att godkänna Elocta är en viktig milstolpe som kan innebära att vi kan erbjuda den här innovativa behandlingen till personer med hemofili A över hela Europa", säger Aoife Brennan, MD, VP Hematology, Clinical Development på Biogen. "Potentialen att med färre profylaktiska injektioner erbjuda skydd mot blödningar blir om Elocta godkänns, det första framsteget inom EU när det gäller behandling av hemofili på nästan 20 år."

Elocta är det europeiska varumärket för rFVIII Fc, också känt som Eloctate® (rekombinant koagulationsfaktor VIII Fc-fusionsprotein) i USA, Kanada, Australien, Nya Zeland och Japan, där det är godkänt för behandling av hemofili A. Vanliga rapporterade biverkningar ($\geq 1\%$ av patienterna) i kliniska studier var ledsmärta, sjukdomskänsla, muskelsmärta, huvudvärk och hudutslag. Behandling med Elocta kan ge upphov till att neutraliserande faktor VIII antikroppar, sk. inhibitorer utvecklas.

Biogen och Sobi samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Elocta/Eloctate för behandling av hemofili A. Föregående år utnyttjade Sobi sin option att erhålla rättigheterna att slututveckla och kommersialisera Elocta (rFVIII Fc) på sina marknader, i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt vissa marknader i Mellanöstern.

"Vi är fast beslutna att ge människor runt om i världen som lever med hemofili tillgång till en ändamålsenlig och förbättrad behandling", säger Birgitte Volck, MD, Ph.D., Senior Vice President Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi välkomnar CHMP's rekommendation och ser fram emot EU-kommissionens beslut angående Elocta."

- - -

Om hemofili A

Hemofili (blödarsjuka) A är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt på grund av kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor VIII-proteinet, som krävs för normal blodlevring. Personer med hemofili A upplever upprepade och förlängda blödningar som kan vara smärtsamma och kan ge permanenta skador på leder. I vissa fall kan dessa blödningar vara livshotande. Enligt World Federation of Hemophilia, finns uppskattningsvis 142,000 diagnostiserade patienter med hemofili A i hela världen.^[1]

Om A-LONG studien

A-LONG var en öppen, multicenter fas 3 studie med 165 tidigare behandlade pojkar och män 12 år och äldre med svår hemofili A. Studien utvärderade individanpassad och veckovis profylax för att förhindra blödningar samt vid behov för att behandla blödning. I den individanpassade behandlingsarmen startade samtliga deltagare med behandling två gånger i veckan. Farmakokinetiska parametrar användes sedan för att anpassa doseringsintervallen (var 3-5 dag) och dosen (25-65 IU/kg) för att hitta den lägsta möjliga faktor VIII-nivån (1-3 IU/dl eller högre om nödvändigt) för att hindra blödning. I studien var dosen i den veckovisa profylaxgruppen 65 IU/kg/vecka.

Om Kids A-LONG

Kids A-LONG är den första kliniska studien som utvärderat ett hemofililäkemedel under utveckling, med en förlängd halveringstid hos barn under 12 år. Studien var en global, öppen, fas-3 multicenterstudie av 71 pojkar med svår hemofili A som varit med om minst 50 behandlingstillfällen med annan faktor VIII-behandling.

Individer som deltagit i någon av de kliniska A-LONG eller Kids A-LONG studierna erbjöds möjligheten att delta i ASPIRE, en klinisk uppföljningsstudie över lång tid för att utvärdera säkerhet och effekt av Eloctate/Elocta. För mer information om dessa studier, vänligen besök www.biogen.com.

Om Biogen

Biogen använder avancerad vetenskap och medicin för att upptäcka, utveckla och leverera till patienter över hela världen innovativa terapier för behandling av neurodegenerativa, hematologiska och autoimmuna sjukdomar. Biogen grundades 1978 och är världens äldsta oberoende bioteknikföretag. Patienter över hela världen drar nytta av dess ledande behandlingar inom multipel skleros och innovativa hemofilibehandlingar. För produktmärkning, pressmeddelanden och ytterligare information om företaget, vänligen besök www.biogen.com.

Om Sobi

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och sällsynta läkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. Intäkterna uppgick 2014 till 2,6 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 600. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information vänligen kontakta:

Sobi

Media relations

Oskar Bosson, Head of Communications

T: +46 70 410 71 80

oskar.bosson@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

T: +1 347-224-0819, +1 212-579-0506, +46 8 697 2135

jorgen.winroth@sobi.com

Biogen



Media relations

Lee-Ann Murphy

+1-781-464-3260

public.affairs@biogen.com

Investor relations

Ben Strain

+1-781-464-2442

IR@biogen.com