

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 26 mars 2014



Sobi: Kiobrinas fas 3-studie nådde inte det primära effektmåttet

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi) tillkännagav idag de övergripande studieresultaten för företagets fas 3-studie av Kiobrina (rhBSSL – rekombinant humant gallsaltaktiverat lipas). Studiens primära effektmått – tillväxttakt mätt efter fyra veckors behandling med rhBSSL – nåddes inte. Prematura barn som behandlats med rhBSSL visade ingen statistiskt signifikant förbättring avseende tillväxttakt jämfört med placebo.

Resultat från den europeiska multicenter fas 3-studien av rhBSSL, kallad LAIF-studien (Lipase Added to Infant Feeding), visade att hos 410 prematura barn födda före den 32:a graviditetsveckan, skilde sig inte medeltillväxttakten mellan de som behandlats med rhBSSL (16,8 g/kg/dag) jämfört med de som behandlats med placebo (16,6 g/kg/dag). Den uppskattade skillnaden i tillväxttakt var 0,21 g/kg/dag (95% CI (-0,40; 0,83), $p=0.49$). Tillväxttakten var jämförbar mellan grupperna genom hela behandlingsperioden och medianmatningsvolymen var 2,7 ml/kg/dag lägre i rhBSSL-gruppen. 98 procent av spädbarnen fullföljde hela den fyra veckor långa behandlingsperioden.

”LAIF-studien var väl utformad och väl genomförd och kommer att ge betydelsefulla insikter till neonatologiområdet kring tillväxt och utveckling. Även om resultaten inte var vad vi förväntade oss, framförallt sett till tillväxttakten i placebogruppen, visar LAIF-studien att det är möjligt att genomföra stora kontrollerade studier inom detta viktiga område,” sa Geoffrey McDonough, VD och koncernchef för Sobi. ”Vi kommer att utvärdera resterande data från LAIF-studien, inklusive fettsyrevärdena och den neurokognitiva utvärderingen. De övergripande resultat vi fått fram så här långt stödjer inte en initiering av den amerikanska studien.”

Studien omfattade också flera sekundära effektmått. Ingen signifikant skillnad mellan rhBSSL- och placebogruppen observerades i den initiala analysen av huvudomfång (3,92 cm jämfört med 3,88 cm; 95% CI (-0,15; 0,24), $p=0,66$) eller huruvida barnen bedömdes vara redo för utskrivning från sjukhuset (45,1 jämfört med 45,2 dagar; 95% CI (-3,2; 2,9) $p=0,93$).

En högre förekomst av biverkningar observerades under den fyra veckor långa behandlingsperioden i gruppen som behandlats med rhBSSL, främst med avseende på gastrointestinal intolerans och potentiella fall av nekrotiserande enterokolit (NEC). Ytterligare analyser är nödvändiga för att bättre förstå dessa fynd.

”Den totala förekomsten av biverkningar som rapporterades i studiens behandlingsarm för dessa mycket känsliga spädbarn ser ut att vara i linje med vad som ses varje dag i klinisk praxis på en neonatalavdelning,” sa

Charlotte Casper, Internationell huvudprövare och Professor i Neonatologi, Toulouse, Frankrike. "Emellertid förstår vi inte till fullo obalansen mellan grupperna vilket innebär att resultaten måste utvärderas ytterligare."

Även om de övergripande resultaten var negativa, visade analysen av den förspecifierade sub-gruppen *Prematurt barn med för åldern låg födelsevikt* (SGA = Small for Gestational Age) (N=62), högre tillväxttakt jämfört med placebo (17,1 g/kg/dag resp. 15,1 g/kg/dag med en beräknad skillnad på 1,95; 95% CI (0,38; 3,52)). Ytterligare analys är nödvändig för att bedöma hur relevanta dessa fynd är.

"Fas 3-studie av rhBSSL genomfördes på fler än 50 centra i tio länder i Europa och inkluderade fler än 400 prematura barn födda före vecka 32 med jämförbara bakgrundsdata mellan grupperna," sa Birgitte Volck, MD, PhD, Senior Vice President och medicinsk chef vid Sobi. "Studien var utformad för att utvärdera effekt, säkerhet och tolerabilitet av rhBSSL och var planerad för att kunna detektera även små skillnader i det primära effektmåttet; tillväxttakt mätt efter fyra behandlingsveckor. När det gäller de sekundära effektmåtten har vi hittills endast analyserat en del. Dessutom kvarstår en utvärdering av samtliga barns neurologiska utveckling vid tolv månader."

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 inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar samt tre projekt i sen klinisk fas inom hemofili och neonatologi. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och sällsynta läkemedel på uppdrag av olika partnerföretag. Intäkterna uppgick 2013 till 2,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 550. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information vänligen kontakta:

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