

## PRESSMEDDELANDE

New Orleans, Louisiana, USA 9 december 2013

### **Ny fas-3-data bekräftar förlängd halveringstid för hemofiliproduktkandidater över flera patientgrupper**

*Interimsanalys från fas-3-studier i barn tyder på förlängd halveringstid av försöksbehandling med långtidsverkande terapier hos barn under 12 år.*

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi) och Biogen Idec presenterade idag nya resultat från fas-3 studier för bolagens gemensamma långtidsverkande rekombinanta faktor VIII, rFVIIIc (Eloctate™), och faktor IX, rFIXc (Alprolix™), produktkandidater för hemofili A och B. Resultaten inkluderar en interimsanalys av farmakokinetikdata i barn. Dessa data visar för första gången genomgående förlängda halveringstider (tiden då läkemedlet cirkulerar i kroppen) i barn, jämfört med försökspersonernas tidigare behandlingar. Resultaten överensstämmer med farmakokinetiska resultat i vuxna och unga vuxna och presenterades av forskare vid den 55:e årliga kongressen för det amerikanska sällskapet för blodspecialister, *American Society of Hematology* (ASH), i New Orleans 7-10 december.

Produktkandidaterna rFVIIIc och rFIXc utnyttjar Fc-fusionsteknologi som förlänger tiden som läkemedlen cirkulerar i kroppen, vilket i studier av vuxna med hemofili har visat att intervallen mellan de förebyggande intravenösa injektionerna kan förlängas.

- Som vi tidigare sett i vuxenstudier, indikerar interimdata att användningen av Fc-fusionsteknologin bidrar till att förlänga halveringstiden i dessa försöksbehandlingar även hos barn. Vi undersöker om man kan ge förebyggande behandling med längre doseringsintervall än vad som är möjligt idag. Tätheten av nuvarande förebyggande standardbehandling är en utmaning för föräldrar, eftersom många barn behöver intravenösa injektioner flera gånger i veckan, säger doktor Guy Young, chef för Hemophilia Treatment Center vid Children's Hospital i Los Angeles.

Kids B-LONG och Kids A-LONG är pågående fas-3 multicenterstudier av rFIXc och rFVIIIc för barn under 12 år med hemofili B respektive hemofili A. Studierna är designade för att undersöka säkerhet, effekt och farmakokinetik av rFIXc och rFVIIIc. I Kids B-LONG var den genomsnittliga halveringstiden för rFIXc mer än tre gånger längre än nuvarande faktor IX-behandlingar. Analys av Kids A-LONG visade att den genomsnittliga

## **PRESSMEDDELANDE**

New Orleans, Louisiana, USA 9 december 2013

halveringstiden av rFVIII-Fc var cirka en och en halv gång längre än nuvarande faktor VIII-behandlingar. Förlängda halveringstider kunde observeras för båda behandlingarna i varje studerad åldersgrupp; yngre än 6 år och 6 till 12 år.

Det upptäcktes inga inhibitorer (antikroppar som kan motverka behandlingen) hos de 43 barn som behandlades med rFVIII-Fc fram till 8 februari 2013 eller hos de 23 barn som behandlades med rFIX-Fc fram till 23 april 2013. Genomgående var mönstret för rapporterade biverkningar till följd av behandlingen typiska för de undersökta grupperna och inga unika säkerhetsfrågor identifierades.

Slutgiltiga resultat från barnstudierna kommer att utvärdera effekten och säkerheten av rFIX-Fc och rFVIII-Fc samt bidra med ytterligare farmakokinetisk information. Försöksledarna avser att rapportera dessa resultat vid ett kommande medicinskt möte. Den primära mätpunkten för båda studierna är frekvensen av inhibitorutveckling under studiens gång. Sekundära mätpunkter är antalet förväntade blödningstillfällen per år, s.k. annualized bleeding rate (ABR), samt hur väl blödningar svarar på behandling.

Vid mötet presenterades nya dataanalyser från B-LONG och A-LONG studierna, fas-3-studierna av rFIX-Fc och rFVIII-Fc på vuxna och unga vuxna. Dessa data gav ytterligare insikt i vilka doseringsintervall som kan vara möjliga för en förebyggande behandling, om och när dessa behandlingar blir godkända. Förebyggande behandling inbegriper regelbundna intravenösa injektioner avsedda att förhindra eller minska blödningar. Dessa studier visade att försöksmedicinens förlängda halveringstid hjälpte deltagarna att effektivt förhindra eller minska antalet blödningar med färre förebyggande injektioner.

- Dessa resultat stödjer vårt åtagande att lyfta vetenskaplig förståelse och innovation inom hemofili och vårt mål att presentera de första långtidsverkande terapierna till patienter med hemofili. Dessa analyser adderar till den växande mängd data som stödjer de kliniska fördelarna med rFIX-Fc och rFVIII-Fc hos personer med hemofili B och A i olika åldrar, samt potentialen att vid ett godkännande minska blödningar med färre förebyggande injektioner, säger Glenn Pierce, Senior Vice President, Global Medical Affairs och medicinsk chef för terapiområdet hemofili vid Biogen Idec.

## PRESSMEDDELANDE

New Orleans, Louisiana, USA 9 december 2013

### Mindre frekvent förebyggande dosering observerad med rFVIII-Fc

En post-hoc-analys av studiedeltagare i A-LONG som innan studiestart stod på förebyggande behandling med nuvarande tillgängliga faktor VIII behandlingar, utvärderade egenrapporterad dosering, doseringsintervall och blödningsfrekvens över de föregående 12 månaderna med nuvarande godkända faktor VIII preparat. Samma data samlades också in för rFVIII-Fc inom ramen för studien.

Merparten av deltagarna rapporterade tre intravenösa injektioner per vecka under föregående år med deras tidigare faktor VIII-behandling. Under studiens gång behandlades 98,8 procent av deltagarna som fick förebyggande behandling med rFVIII-Fc med färre injektioner än de gjorde innan studien. De sista doseringsintervallen som noterades under studien var, var tredje dag (36,3 procent), två gånger i veckan (28,8 procent), var fjärde dag (5,0 procent) och var femte dag (30,0 procent). Som helhet rapporterade deltagarna ett medianvärde på 6,0 blödningstillfällen under föregående år när de stod på tidigare behandling. Under de tre sista månaderna av behandling med rFVIII-Fc inom ramen för studien hade deltagarna ett medianvärde på noll blödningstillfällen per år. Vid förebyggande faktorbehandling med rFVIII-Fc förblev veckodosen väsentligen oförändrad för merparten av studiedeltagarna jämfört med deras tidigare behandling.

- Långtidsverkande behandling har potential att skapa förebyggande doseringsscheman med längre intervaller och samtidigt minska blödningar. Dessa data kan hjälpa läkare att förstå hur förebyggande doseringsscheman kan komma att skilja sig mellan långtidsverkande försöksterapi med rFVIII-Fc och nuvarande standardbehandling med faktor VIII. Post-hoc-analysen visade att rFVIII-Fc gav kontroll över blödningarna med färre doseringstillfällen än deras tidigare terapier, säger Birgitte Volck, Senior Vice President Development och Chief Medical Officer på Sobi.

Försöksledare rapporterade att rFVIII-Fc tolererades väl och att inga inhibitorer upptäcktes under A-LONG-studien. Biverkningar motsvarade de som förekommer i den allmänna hemofilipopulation. Med undantag för den kirurgiska perioden var de mest vanligt förekommande biverkningarna (med en incidens större eller lika med fem procent) förkylning, ledvärk, huvudvärk och övre luftvägsinfektioner.

## PRESSMEDDELANDE

New Orleans, Louisiana, USA 9 december 2013

### Livskvalitet vid hemofili validerad

Denna studie evaluerade tillförlitlighet, validitet och känslighet av livskvalitetsindexet Hemophilia-Specific Quality of Life Index (Haem-A-QoL), ett frågeformulär med 46 frågor som används för att mäta hälsorelaterad livskvalitet särskilt hos personer med hemofili. Analysen använde EuroQoL-5 Dimension (EQ-5D)-data för att validera Haem-A-QoL data insamlat i samband med A-LONG och B-LONG-studierna. EQ-5D är ett verktyg som ofta används för att mäta hälsorelaterad livskvalitet i studier i sen fas vid andra sjukdomar. Data styrker användbarheten av mätningar med Haem-A-QoL hos vuxna med hemofili.

- Utan tillräcklig kontroll av blödningstillfällen leder hemofili inte bara till fysiska komplikationer utan kan även påverka personens möjlighet att delta i skola eller arbete, utöva fritidsaktiviteter eller upprätthålla en positiv mental hälsa. För att förstå dessa effekter så åligger det oss att även undersöka vilken effekt våra produktkandidater rFIXFc och rFVIIIFc har på ett brett spektrum av mätvärden, inklusive mätningar av livskvalitet. En preliminär analys av resultaten från Haem-A-QoL i A-LONG och B-LONG studierna visade numeriska förbättringar i totalresultaten mätt från utgångsvärdena och vi genomför ytterligare analyser för att förstå vilken kliniskt potential dessa resultat kan medföra, säger Aoife Brennan, Senior Medical Director, Clinical Development vid Biogen Idec's terapiområde för hemofili.

- - -

### Om rFIXFc och rFVIIIFc

Produktkandidaterna rFIXFc (ALPROLIX) och rFVIIIFc (ELOCTATE) är rekombinanta, långtidsverkande koagulationsfaktorterapier för respektive hemofili B och A. De utnyttjar Fc-fusionsteknologi, som använder sig av en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen av IgG1 (ett vanligt förekommande protein i kroppen) och återcirkulerar det tillbaka till blodomloppet. Fc-delen av IgG1 är länkad till faktor IX och VIII i rFIXFc respektive rFVIIIFc. Denna teknologi tros vara det som gör det möjligt att faktorproteinerna stannar kvar i kroppen under en längre tid. Fc-fusionsteknologin har använts i över 15 år. Biogen Idec är det enda företag som applicerar teknologin inom hemofiliområdet.

Baserat på resultat av fas-3-studier kan förebyggande behandling med rFIXFc och rFVIIIFc förhindra eller minska antalet blödningstillfällen hos personer med Hemofili B respektive Hemofili A. Myndighetsgodkännande för båda behandlingarna granskas för tillfället i flera länder inklusive USA, Kanada och Australien.

## PRESSMEDDELANDE

New Orleans, Louisiana, USA 9 december 2013

### Om hemofili A och B

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt. Hemofili A uppträder i ungefär ett fall på 5 000 födda pojkar per år, och Hemofili B är mer ovanligt och uppträder i ett fall på 25 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili uppträder mer sällan i kvinnor. Världsföreningen för Hemofili (WFH) uppskattar att cirka 400 000 personer i världen lever med hemofili.

Det finns olika typer av hemofili som beror på vilket levringsprotein, eller faktor, som saknas eller är reducerad, inklusive Hemofili A (brist på faktor VIII) och Hemofili B (brist på faktor IX). Personer med hemofili kan uppleva upprepade blödningar, som kan leda till smärta, permanenta skador på leder och livshotande blödningar. Förebyggande injektioner med faktor VIII eller IX kan tillfälligt återställa levringsprocessen och förhindra upprepade blödningar. Den medicinska rådgivande kommittéen "The Medical and Scientific Advisory Council" för den amerikanska patientföreningen "The National Hemophilia Foundation" rekommenderar förebyggande behandling som den optimala terapin för personer med hemofili.

### Om samarbetet mellan Biogen Idec och Sobi

Biogen Idec och Sobi samarbetar om utvecklingen och kommersialiseringen av rFVIII-Fc och rFIX-Fc. Biogen Idec leder utvecklingen, har tillverkningsrättigheter och kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner där Sobi inte är närvarande. Sobi har rätt att välja att ha den slutliga utvecklingen och kommersialiseringen i Europa, Ryssland, Mellanöstern och norra Afrika.

### Om Sobi

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen är främst inriktad 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 2012 till 1,9 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 500. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com)

### Om Biogen Idec

Biogen Idec använder avancerad vetenskap och medicin för att upptäcka, utveckla och leverera till patienter över hela världen innovativa terapier för behandling av neurodegenerativa sjukdomar, hemofili och autoimmuna sjukdomar. Biogen Idec grundades 1978 och är världens äldsta oberoende bioteknikföretag. Patienter över hela världen drar nytta av dess ledande behandlingar inom multipel skleros och företaget genererar mer än 5 miljarder dollar i årliga intäkter. För produktmärkning, pressmeddelanden och ytterligare information om företaget, vänligen besök [www.biogenidec.com](http://www.biogenidec.com).

### För mer information – inte för publicering

#### Media relations

Charlotte af Klercker, Senior Communications Manager

T: +46 70 729 7327

E: [charlotte.afklercker@sobi.com](mailto:charlotte.afklercker@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

E: [jorgen.winroth@sobi.com](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)

#### Swedish Orphan Biovitrum AB

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

Phone: +46 697 20 00 Fax +46 697 20 00 [www.sobi.com](http://www.sobi.com)