

Swedish Orphan Biovitrum's långvariga FVIII Fc Hemofili A behandling erhåller sär läkemedelsklassificering i USA

Stockholm den 23 december 2010 - Swedish Orphan Biovitrum (STO: SOBI) meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har beviljat sär läkemedelsklassificering (Orphan Drug Designation) för sitt långvariga rekombinanta faktor VIII Fc fusionsprotein (rFVIII Fc) för behandling av hemofili A. rFVIII Fc utvecklas i samarbete med Biogen Idec (NASDAQ: BIIB).

En global registreringsstudie (A-LONG) av rFVIII Fc pågår. Fas II/III studien, är en öppen klinisk multicenterstudie som genomförs för att utvärdera säkerhet, farmakokinetisk profil och effekt av rFVIII Fc i förebyggande behandling och behandling vid blödning hos tidigare behandlade hemofili A patienter.

"Sär läkemedelsklassificeringen (Orphan Drug Designation) av rFVIII Fc är ett viktigt steg i våra ambitioner att få fram en ny, värdefull och efterlängtat behandling av patienter med brist på faktor VIII. Klassificeringen ger förmåner såsom vetenskapligt stöd av FDA, reducerade registreringsavgifter, samt efter att sär läkemedelsstatus (Orphan Drug Status) uppnåtts, möjlighet att få 7 års marknadsexklusivitet", säger Peter Edman, forsknings – och utvecklingschef vid Swedish Orphan Biovitrum (Sobi).

Om rFVIII Fc och det rekombinanta Fc-fusionsproteinsprogrammet inom hemofili

Behandling av hemofili A kräver upprepade injektioner, vilket kan utgöra påtagliga besvär för personer med tillståndet. rFVIII Fc molekylen undersöks vad gäller potentialen att förlänga skyddet mot blödning, reducera antalet injektioner både vid profylaxbehandling och vid behovsbehandling vid hemofili A.

rFVIII Fc är ett rekombinant FVIII Fc-fusionsprotein utvecklat genom att använda monomerisk Fc-fusionsteknologi. Denna teknologi använder sig av ett naturligt förlopp som återcirkulerar rFVIII Fc i blodbanan för att förlänga dess halveringstid. Det är en helt rekombinant koaguleringsfaktor designat för att ersätta det protein som hemofili A patienter saknar och med syfte att finnas kvar längre i kroppen än de idag marknadsförda Faktor VIII produkterna.

Registrerings studien gällande rFVIII Fc förväntas ta in ca 150 patienter på 60 kliniker runt om i världen. A-LONG studien kommer att inkludera manliga patienter som är 12 år och däröver med allvarlig form av hemofili A, en sjukdomshistoria med åtminstone 150 dokumenterade exponeringar av någon nu marknadsförd faktor VIII produkt och blodplättar $\geq 100,000$ celler/ μ L. Patienterna kommer att få behandling i en av dessa tre studiearmar; högdos profylax, lågdos profylax eller vid behov behandling.

Beslutet att gå vidare med rFVIII Fc i sen klinisk fas är baserat på positiva kliniska fas I/IIa resultat och supporterande prekliniska resultat. I juli meddelade Biogen Idec och Sobi resultat från en öppen fas I/IIa dosökningsstudie som utvärderade säkerheten och farmakokinetiken av en intravenös injektion av rFVIII Fc i 16 tidigare behandlade patienter med allvarlig hemofili A. I studien uppvisade rFVIII Fc en förlängd halveringstid jämfört med Advate[®] och tolererades väl utan rapporterade allvarliga läkemedelsbiverkningar relaterade till rFVIII Fc. Biverkningar observerades i

11 av de 16 patienterna, men endast en bedömdes som relaterad till studieläkemedlet –dysguesia (smakförändring i munnen).

Biogen Idec och Sobi använder sig av samma unika och patenterade teknologi i sin utveckling av ett fullständigt rekombinant långverkande faktor IX Fc-fusionsprotein (rFIXFc) för behandling av hemofili B. rFIXFc studeras i en pågående öppen, multicenter registreringsstudie (B-LONG) som har till syfte att utvärdera säkerhet, farmakokinetik och effekt i hemofili B patienter. För att hitta mer information kring rFIXFc och rFVIIIc prövningarna gå gärna till www.biogenidechemophilia.com eller www.clinicaltrials.gov.

Om hemofili A

Hemofili (blödarsjuka) A 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 beror på kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor VIII-proteinet, vilket krävs för normal blodlevring. Personer med hemofili A behöver därför injektioner av faktor VIII för att återställa leveringsprocessen och förhindra upprepade blödningar, som annars kan leda till smärta, permanenta skador på leder och livshotande blödningar. Profylaktisk behandling med två eller tre injektioner i veckan för att upprätthålla en tillräcklig cirkulerande nivå av koagulationsfaktor används allt mer och långsiktiga studier visar att denna form av behandling ökar den förväntade livslängden för patienten och kraftigt minskar, eller till och med helt eliminerar, den successiva nedbrytningen av lederna.

Om Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)

Sobi är ett Sverigebaserat specialisläkemedelsföretag med internationell marknadsnärvaro. Bolaget fokuserar på att tillgängliggöra och utveckla specialisläkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar och stora medicinska behov. Vår portfölj innehåller för närvarande cirka 60 marknadsförda produkter, samt ett växande antal produkter i sen klinisk utvecklingsfas. Våra fokusområden är: hemofili, inflammation/autoimmuna sjukdomar, försämrat fettupptag, cancer och ärftliga ämnesomsättningsrubbningar. Sobis pro forma intäkter under 2009e var omkring 2 mdr SEK och antalet anställda cirka 500. Huvudkontoret finns i Sverige och aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För ytterligare information, kontakta:

Erik Kinnman, Informationsdirektör
Tel: +46 73 422 15 40
e-post: erik.kinnman@sobi.com

Peter Edman, Forsknings – och utvecklingschef
Tel: +46 8 629 21 77
e-post: peter.edman@sobi.com

Informationen ovan är sådan som Swedish Orphan Biovitrum kan vara skyldigt att offentliggöra enligt lagen om värdepappersmarknaden och/eller lagen om handel med finansiella instrument. Informationen lämnades för offentliggörande den 23 december 2010, klockan 08:30.