

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sverige och Cambridge, Massachusetts, USA 2 december 2016

Sobi och Biogen presenterar data som stärker den långsiktiga säkerheten och effekten av Elocta® och Alprolix®, hemofilprodukter med förlängd halveringstid, vid det 58:e ASH-mötet

Nya långtidsdata visar att långsiktig profylaktisk användning av Elocta/Eloctate resulterade i effektiv behandling av leder med historik av återkommande blödningar och förbättrad livskvalitet.

[Biogen](#) (NASDAQ: BIIB) och [Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) (STO:SOBI) kommer vid det 58:e årsmötet och kongressen för American Society of Hematology (ASH) i San Diego, Kalifornien, den 3-6 december att presentera nya data. Denna inkluderar uppdaterade data gällande säkerhet och effektivitet, från fas III och fortsättningsstudier för bolagens hemofilprodukter med förlängd halveringstid Elocta® (efmoroctocog alfa) (marknadsförs som Eloctate® i USA och vissa andra länder) för behandling av hemofili A samt Alprolix® (eftrenonacog alfa) för behandling av hemofili B.

Presentationerna omfattar data gällande effektivitet som visar låga årliga blödningsfrekvenser i leder och en effektiv behandling av leder med historik av upprepade blödningar (≤ 2 spontana blödningar under ett år) hos barn, tonåringar och vuxna som behandlas med profylaktisk långtidsbehandling med Elocta/Eloctate. När människor med hemofili får upprepade blödningar i samma led kan något som kallas "target-led" uppstå vilket kan leda till kronisk ledsjukdom. För hemofilirelaterade livskvalitetsmått (Hem-A-QoL) sågs en förbättring med 18% hos tonåringar och vuxna som upplevde en effektiv behandling mot "target-leder" vid profylaktisk behandling med Elocta/Eloctate i jämförelse med baslinjemätningar vid starten av fas III-studien. Störst effekt ($\geq 20\%$) sågs inom områden som fysisk hälsa, idrott och fritid, samt arbete och skola.

Biogen kommer också att presentera prekliniska data för rekombinant FIXFc-XTEN, ett fusionsprotein som studeras för behandling av hemofili B med subkutan dosering en gång i veckan. rFIXFc-XTEN programmet utvecklas för närvarande enbart av Biogen. Det utnyttjar XTEN® teknik som licensierats från Amunix. Beroende på hur Biogens projekt utvecklas och andra faktorer, har Sobi en framtida optionsrätt.

"De data som presenteras vid ASH, tillsammans med erfarenheten av Elocta/Eloctate och Alprolix från den kliniska vardagen, kan hjälpa patienter, läkare och beslutsfattare att bättre förstå den långsiktiga säkerheten och långtidseffekten för dessa terapier", säger Maha Radhakrishnan, MD, vice president, medical, Biogen och medicinsk chef på Bioverativ Inc, som är en avknoppning av Biogens affärsområde hemofili som kommer att startas upp i början av 2017. "Vi är fortsatt starkt engagerade i att utveckla nya behandlingar som kan ha en betydande inverkan på livet för människor med hemofili."

"Det är uppmuntrande att få ta del av data som visar att Elocta/Eloctate kan förbättra livskvaliteten för människor med hemofili A", säger Krassimir Mitchev, MD, PhD, vice president och medicinsk chef för

hemofili på Sobi. "Sobi har tillsammans med Biogen ett åtagande att säkerställa en varaktig tillgång till Elocta/Eloctate för människor som lever med hemofili A inom våra respektive marknader."

Elocta/Eloctate och Alprolix har mer än två års data från användning i den kliniska vardagen och är de enda hemofiliprodukterna som utvecklats med hjälp av Fc-fusionsteknologi. Denna teknologi gör det möjligt att använda en naturligt förekommande process för att förlänga den tid som behandlingen finns kvar i kroppen.

Dessa terapier och rFIXFc-XTEN är en del av Biogens hemofiliverksamhet som Biogen planerar att knoppa av till Bioverativ, ett oberoende publikt bolag, inriktat på forskning, utveckling och kommersialisering av behandlingar av hemofili och andra sällsynta blodsjukdomar. Bioverativ kommer att fortsätta att samarbeta med Sobi inom deras gemensamma utvecklingsprogram.

Presentationer i urval:

Elocta/Eloctate och Alprolix focus:

- Longitudinal Analysis of Long-term Safety and Efficacy of Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) in Adults/Adolescents with Severe Hemophilia A – Session: 322, Disorders of Coagulation or Fibrinolysis: Poster I - #1413 - Saturday, December 3, 5:30-7:30 PM PST
- Longitudinal Analysis of Long-term Safety and Efficacy of Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) in Previously Treated Children with Severe Hemophilia A – Session: 322, Disorders of Coagulation or Fibrinolysis: Poster I - #1414 - Saturday, December 3, 5:30-7:30 PM PST
- Clinical Outcomes in Adults/Adolescents with Hemophilia B Treated Long Term with Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) Prophylaxis: Interim Results of the B-YOND Extension Study – Session: 322, Disorders of Coagulation or Fibrinolysis: Poster I - #1416 - Saturday, December 3, 5:30-7:30 PM PST
- Long-term Efficacy and Quality of Life With Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) Prophylaxis in Pediatric, Adolescent, and Adult Subjects with Target Joints and Severe Hemophilia A – Session: 322, Disorders of Coagulation or Fibrinolysis: Poster III - #3791 – Monday, December 5, 6:00-8:00 PM PST

Biogen's rFIXFc-XTEN:

- Evaluation of rFIXFc-XTEN bleeding efficacy in Hemophilia-B mouse models – Session: 321, Blood Coagulation and Fibrinolytic Factors: Poster III - #3757 – Monday, December 5, 6:00-8:00 PM PST

Om hemofili A och B

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt. Hemofili A uppträder i ungefär ett fall på 5 000 födda pojkar per år, och hemofili B uppträder i ett fall på 25 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili uppträder mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas 180 000 personer runt om i världen för närvarande vara diagnostiserade med hemofili.ⁱ

Människor med hemofili A eller B upplever förlängda blödningstillfällen som kan orsaka smärta, ge upphov till bestående lefskador samt livshotande blödningar. Profylaktiska injektioner av faktor VIII eller IX kan tillfälligt ersätta koagulationsfaktorerna som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar.ⁱⁱ The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylax som behandlingsmål eftersom det kan förhindra blödningar och leddestruktion.ⁱⁱⁱ

Om Elocta®

Elocta (efmorococog alfa), är en rekombinant, koagulationsfaktor VIII-terapi med förlängd cirkulationstid i kroppen som utvecklats för hemofili A och som bygger på en teknologi kallad Fc fusionsprotein. Elocta utvecklades genom att fusionera faktor VIII med Fc-delen av immunoglobulin G, subgrupp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Elocta att utnyttja en naturligt förekommande process som förlänger tiden som behandlingen finns kvar i kroppen. Även om Fc-tekniken har använts inom andra terapiområden under 15 år, har Sobi och Biogen förädlat teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Elocta tillverkas i en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

Elocta är godkänt för behandling av hemofili A i EU, Schweiz, Island, Liechtenstein, Norge och Kuwait, marknadsförd av Sobi liksom i USA, Japan, Kanada, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och andra länder som Eloctate, och Biogen har marknadsföringsrättigheter i dessa regioner.

Som för faktorersättningspreparat i allmänhet kan allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer ske vid behandling av hemofili A. Inhibitorer har rapporterats vid behandling med Elocta/Eloctate inklusive hos tidigare obehandlade patienter. För mer information se fullständig [produktinformation](#) för Eloctate i USA. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i [produktinformationen](#) för Elocta i EU.

Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa), är en rekombinant faktorterapi med förlängd cirkulationstid i kroppen som utvecklats för hemofili B och som bygger på en teknologi kallad Fc fusionsprotein. Alprolix utvecklades genom att fusionera faktor IX med Fc-delen från immunoglobulin G subtyp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Alprolix att utnyttja en naturligt förekommande process som förlänger tiden som behandlingen finns kvar i kroppen. Även om Fc-tekniken har använts inom andra terapiområden under 15 år, har Sobi och Biogen förädlat teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Alprolix tillverkas i en human cellinje, i en miljö fri från djur eller människa.

Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B inom EU, Island, Liechtenstein, Schweiz och Norge, marknadsförd av Sobi liksom USA, Kanada, Japan, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och andra länder och Biogen har marknadsföringsrättigheter i dessa regioner.

Allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer har observerats med Alprolix vid behandling av hemofili B, inklusive hos tidigare obehandlade patienter. För mer information se fullständig [produktinformation](#) för Alprolix i USA. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i [produktinformationen](#) för Alprolix i EU.

Om Biogen

Biogen använder avancerad vetenskap och medicin för att upptäcka, utveckla och leverera innovativa terapier för behandling av neurodegenerativa sjukdomar, autoimmuna och sällsynta sjukdomar till patienter över hela världen. Biogen grundades 1978 och är världens äldsta oberoende bioteknikföretag. Patienter över hela världen drar nytta av dess ledande behandlingar inom multipel skleros och hemofili. För ytterligare information om företaget, vänligen besök www.biogen.com. Follow us on [Twitter](#).

Om Sobi™

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Sobis uppdrag är att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar och tjänster som ger patienter ett bättre liv. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj med specialist- och säräkemedel i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland på uppdrag av olika partnerföretag. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom proteinteknik och produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2015 till 3,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 700. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

Om Sobi och Biogens samarbete

Sobi och Biogen samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Elocta/Eloctate och Alprolix. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera produkten på sina marknader (i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt vissa marknader i Mellanöstern). Biogen har tillverkningsansvar för Elocta/Eloctate och Alprolix och har utvecklings- och kommersialiseringsrättigheterna i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom på Sobis marknader.

För mer information, vänligen kontakta:

Media relations

Linda Holmström, Senior Communications Manager
0708 73 40 95, 08 697 31 74

linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations
+1 347-224-0819, +1 212-579-0506, 08 697 2135

jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ World Federation of Hemophilia, Annual Global Survey 2015, published in October 2016. Available at: <http://www.wfh.org/en/data-collection>

ⁱⁱ World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B. Accessed on: June 17, 2016.

ⁱⁱⁱ Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Accessed on December 2015