

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 28 januari 2016



Sobi™ presenterar nya interimresultat från ASPIRE vid EAHAD-kongressen, som tyder på att patienter kan minska antalet blödningstillfällen vid långtidsbehandling med Elocta®

Nya interimresultat från ASPIRE, den pågående fortsättningsstudien på Elocta® (efmoroctocog alfa), som Biogen marknadsför som Eloctate® (Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc Fusion Protein) i USA, visar att patienter kan upprätthålla ett långvarigt skydd mot blödningar genom profylaktisk dosering i längre intervall. Resultaten kommer att presenteras av [Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi) (STO: SOBI) och [Biogen](#) (NASDAQ: BIIB) på den nionde årliga kongressen som arrangeras av European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) och som äger rum i Malmö, den 3-5 februari, 2016.

Sammanlagt 13 posters kommer att presenteras av de båda bolagen, däribland resultaten från en retrospektiv europeisk studie av den nuvarande behandlingspraxisen inom hemofili A och B, som understryker behovet av fler innovationer inom hemofiliområdet. Ytterligare data kommer att presenteras som visar hur Elocta kan förbättra lederna hos personer med hemofili A.

"Interimsdata från vår fleråriga fortsättningsstudie ASPIRE, visar att det totala antalet blödningstillfällen per år, i jämförelse med resultatet från de vägledande studierna, bibehölls eller minskade ytterligare genom profylaktisk långtidsbehandling med Elocta", säger Krassimir Mitchev, MD, PhD, Vice President, Medical Therapeutic Area Head Haemophilia på Sobi. "Dessutom visar resultaten från vår retrospektiva europeiska observationsstudie att personer med hemofili som får konventionell profylaktisk behandling fortfarande får blödningar. Resultaten antyder att det finns en möjlighet att ytterligare förbättra hemofilibehandlingen."

ASPIRE är en pågående, öppen, icke randomiserad, flerårig fortsättningsstudie för personer som fullföljde de vägledande fas-3-studierna A-LONG eller Kids A-LONG. A-LONG och Kids A-LONG visade på effekten, säkerheten och farmakokinetiken för Elocta hos tidigare behandlade män 12 år och äldre, samt barn yngre än 12 år, med svår hemofili A.

Dr Mitchev fortsätter: "Interimresultaten från ASPIRE tydliggör värdet av en behandling med förlängd halveringstid för att hantera blödningar och stärker ytterligare säkerhets- och effektprofilen för Elocta, som är den första större förbättringen av behandlingen i EU för personer med hemofili A på nästan 20 år. Dessa data kompletterar vår robusta portfölj av kliniska data för Elocta och utgör den längsta kliniska observationsperioden hittills för någon behandling med förlängd halveringstid."

Titlarna på poster-presentationerna är:

Hemofili – generellt:

- Adherence to treatment in haemophilia: a comparison of conventional and prolonged half-life therapies; *P115*
- A European Retrospective Study of the Current Treatment Practice of Haemophilia A; *P059*
- A European Retrospective Study of the Current Treatment Practice of Haemophilia B; *P062*

Elocta®/Eloctate® (rFVIII Fc):

- Long-Term Safety and Efficacy of Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) in Adults and Adolescents with Severe Haemophilia A: An Updated Interim Analysis of the ASPIRE Study; *P070*
- Second Interim Analysis of the ASPIRE Study Evaluating Long-Term Safety and Efficacy of Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) in Children with Severe Haemophilia A; *P072*
- Modified Haemophilia Joint Health Scores (mHJHS) Outcomes With Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) Prophylaxis in Subjects With Severe Haemophilia A; *P075*
- Long-Term Efficacy of Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) Prophylaxis in Paediatric, Adolescent, and Adult Subjects with Target Joints and Severe Haemophilia A; *P003*
- Low Bleeding Rates With Increase or Maintenance of Physical Activity in Patients Treated With Recombinant Factor VIII Fc Fusion Protein (rFVIII Fc) in the A-LONG and Kids A-LONG Studies; *P002*
- The cost-effectiveness of rFVIII Fc in a Swedish setting; *P086*

Alprolix® (rFIX Fc):

- Effect of Sampling Duration on Pharmacokinetic (PK) Parameters of Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) in the Phase 3 B-LONG Study; *P040*
- Extended-Interval Prophylaxis With Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) in Adults/Adolescents With Haemophilia B: Interim Results of the B-YOND Extension Study; *P044*
- Clinical Outcomes in Children With Haemophilia B Treated Long Term With Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) Prophylaxis: Interim Results of the B-YOND Extension Study; *P045*
- Low Bleeding Rates With Increase or Maintenance of Physical Activity in Patients Treated With Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIX Fc) in the B-LONG and Kids B-LONG Studies; *P001*

Om Elocta®

Elocta (efmoroctocog alfa) är den första rekombinanta, koagulationsfaktor VIII-terapi i EU med förlängd cirkulationstid i kroppen. Produkten är godkänd för behandling och profylax av blödningar hos patienter med hemofili A (faktor VIII-brist) och kan användas av personer i alla åldrar. Den är också känd som Eloctate® (Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc Fusion Protein) och är godkänd för behandling av hemofili A i Australien, Kanada, Japan, Nya Zeeland och USA.

Elocta utvecklades genom att slå samman faktor VIII med borttagen B-domän 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 fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen finns kvar i och har effekt i kroppen. Även om Fc-teknologin har använts inom andra terapiområden under 15 år, är Sobi och Biogen först med att tillämpa teknologin inom hemofili. Som med alla infusionsprotein, kan allergiska överkänslighetsreaktioner och inhibitorer uppträda efter administrering av Elocta. För fullständig produktinformation se www.elocta.com.

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 är mer ovanligt och uppträder i ett fall på 25 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili uppträder mer sällan hos kvinnor. Över 400,000 personer runt om i världen, beräknas leva med hemofili. Hemofili A orsakas av kraftigt reducerade nivåer eller fullständig avsaknad av faktor VIII-aktivitet, medan hemofili B orsakas av kraftigt reducerade nivåer eller fullständig avsaknad av faktor IX-aktivitet. Faktor VIII och faktor IX behövs för att blodet ska kunna koagulera.

Personer 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 de saknade koagulationsfaktorer som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar. ^[1] The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylax som behandlingsmål eftersom det kan förhindra blödningar och leddestruktion. Som ett resultat kan regelbunden profylaktisk behandling bromsa utvecklingen av lefsjukdom och förbättra livskvaliteten. ^[2]

Om samarbetet mellan Sobi och Biogen

Sobi och Biogen är samarbetspartners när det gäller utveckling och kommersialisering av Elocta för hemofili A, som också är känd som Eloctate® (antihemofilifaktor (rekombinant), Fc-fusionsprotein) i Australien, Japan, Kanada, Nya Zeeland och USA där produkten är godkänd för behandling av hemofili A. Sobi har utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter för Elocta inom särskilt angivna områden, vilka inkluderar bland annat Europa, Nordafrika, Ryssland och vissa länder i Mellanöstern. Biogen leder utvecklingen och tillverkningen av produkten och innehar kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen utanför Sobis territorium.

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 sär läkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland. 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:

Media relations

Oskar Bosson, Head of Communications

T: +46 70 410 71 80

E: 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

E: jorgen.winroth@sobi.com

¹ Hemophilia Federation of America. What is Hemophilia? Available at: <http://www.hemophiliafed.org/bleeding-disorders/hemophilia/treatment/>.
Accessed: November 15

¹ Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>.
Accessed: December 2015