

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 19 januari 2017



Första patienterna rekryterade i 24-månaders studie som ska utvärdera effekten av Elocta® i den kliniska vardagen

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) meddelar idag att de första patienterna har rekryterats till studien A-SURE (NCT02976753). A-SURE är en 24-månaders observationsstudie som utvärderar effekten av Elocta® i den kliniska vardagen jämfört med konventionella FVIII-produkter för profylaktisk behandling av patienter med hemofili A i Europa.

Effekten och säkerheten av Elocta har fastställts i kliniska studier. A-SURE studien kommer att generera data från den kliniska vardagen som kan göras tillgängliga för läkare samt pris- och subventionsmyndigheter i utvärderingen av effekt och användning av Elocta.

"Elocta är den första FVIII-produkten med förlängd halveringstid som godkänts av Europeiska kommissionen och representerar som sådan ett betydelsefullt framsteg i behandlingen av hemofili. Farmakokinetiska data från fas 3-studier tyder på att Elocta kan ge högre nivåer av FVIII i plasma under en längre tid jämfört med konventionella hemofiliprodukter vid samma dos. Kliniska data visar att ett effektivt skydd mot blödningar kan åstadkommas med Elocta vid utökade doseringsintervall. A-SURE är en viktig studie som syftar till att utvärdera effekten av Elocta i klinisk vardag. Sobi är engagerade i att tillhandahålla data kring vilka potentiella förbättringar Elocta kan ge människor som lever med hemofili A", säger Stefan Lethagen, Vice President Medical & Clinical Sciences, Haemophilia på Sobi.

A-SURE studien planerar att inkludera 350 patienter i ca tio länder i Europa.

Om A-SURE

Syftet med multicenter-, icke-interventionsstudien A-SURE är att utvärdera effekten av Elocta jämfört med konventionella faktor VIII-produkter vid profylaktisk behandling av patienter med hemofili A under en presumtiv 24-månaders period. Data kommer även att samlas in för en retrospektiv 12-månaders period.

Studiepopulation: Män diagnostiserade med hemofili A som förskrivs profylaktisk behandling med Elocta eller konventionell faktorprodukt. Mer information finns på www.clinicaltrials.gov

Om hemofili A

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt. Hemofili A uppträder i ungefär 1 av 5 000 födda pojkar per år och mer sällan hos kvinnor. World Federation of Hemophilia uppskattar att ca 150 000 personer runt om i världen för närvarande är diagnostiserade med hemofili. A¹. Människor med hemofili A upplever förlängda blödningstillfällen som kan orsaka smärta, ge upphov till bestående leddskador samt livshotande blödningar. Förebyggande injektioner av faktor VIII kan tillfälligt ersätta koagulationsfaktorerna som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar.² World Federation of Hemophilia rekommenderar profylax som behandlingsmål eftersom det kan förhindra blödningar och leddestruktion.³

Om Elocta®

Elocta (efmoroctocog 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/inklusive hos tidigare obehandlade patienter. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i produktinformation för Elocta i EU.

Om Sobis och Biogens samarbete

Sobi och Biogen samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Elocta/Eloctate och Alprolix. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera Elocta och Alprolix på sina marknader (i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt vissa marknader i Mellanöstern). Biogen har tillverkningsansvar för Eloctate/Elocta och Alprolix och har utvecklings- och kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom på Sobis marknader. Biogen kommer att knoppa av sin hemofiliverksamhet till ett självständigt, publikt bolag med fokus på hemofili och andra sällsynta blodsjukdomar den 1 februari 2017. Den planerade avknoppningen, Bioverativ, kommer att fortsätta samarbeta med Sobi i deras gemensamma utvecklingsprogram.

¹ World Federation of Hemophilia, Annual Global Survey 2015, published in October 2016. Available at: <http://www.wfh.org/en/data-collection>

² 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

³ 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

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 på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom 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.

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