

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 2 februari 2017



***The Lancet Hematology* publicerar långtidsdata om säkerhet och effekt av behandling med förlängd halveringstid, Alprolix®, hos barn med hemofili B**

- *Resultaten hos barn ligger i linje med studieresultaten för Alprolix hos vuxna och ungdomar.*

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) och [Bioverativ Inc.](#) (NASDAQ: BIVV) meddelar idag att resultaten från fas 3-studien Kids B-LONG, som studerade Alprolix® (eftrenonacog alfa, Coagulation Factor IX (Recombinant), Fc Fusion Protein) hos tidigare behandlade barn med svår hemofili B, har publicerats i *The Lancet Hematology*. Det primära resultatmålet i studien var utveckling av inhibitorer och inga patienter som behandlats med Alprolix i studien utvecklade inhibitorer. Behandlingen tolererades generellt väl och resulterade i ett lågt antal blödningstillfällen hos deltagarna, varav de flesta kvarstod på dosering en gång i veckan under studien. Artikeln "*Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein in Children with Haemophilia B (Kids B-LONG): Results from a Multicentre, Non-Randomised Phase 3 Study*", publicerades i februari månads utgåva av *The Lancet Hematology*.

"Det medicinska och vetenskapliga rådet vid National Hemophilia Foundation rekommenderar att profylaktisk behandling anses vara den optimala behandlingsmetoden för personer med svår hemofili B, samt att behandling ska inledas tidigt. Detta baseras på den samlade evidens som visar på förbättrade kliniska resultat över lång tid", säger Roshni Kulkarni, MD, Department of Pediatrics and Human Development vid Michigan State University, East Lansing, Michigan, USA och prövare i studien. "Kids B-LONG är den hittills största studien som utvärderar säkerhet och effekt av faktor IX-behandling med förlängd halveringstid hos barn med hemofili B. Studieresultaten är i linje med resultat från studier som gjorts av Alprolix hos vuxna och ungdomar."

Kids B-LONG har studerat säkerhet, effekt och farmakokinetik (uppmätt förekomst av läkemedel i en persons kropp över tid) av Alprolix hos tidigare behandlade barn under 12 år med svår hemofili B (n = 30). Det primära resultatmålet var utveckling av inhibitorer (neutraliserande antikroppar som kan störa behandlingens verkan). Sekundära mått inkluderade farmakokinetik, antal blödningstillfällen per år, s.k. annualised bleeding rate (ABR), och antal injektioner som krävs för att kontrollera en blödning.

I denna studie utvecklade inga deltagare inhibitorer mot Alprolix. Alprolix tolererades väl och de oönskade händelser som observerades var typiska för barn med hemofili B. De vanligaste oönskade händelserna var förkylning (n = 7, 23 %) och fall (n = 6, 20 %). Allvarliga oönskade händelser rapporterades för 4 deltagare under studien, ingen av dessa bedömdes som relaterad till Alprolix av prövarna. I studien förekom inga rapporter om anafylaxi eller allvarliga överkänslighetsreaktioner mot Alprolix, inga vaskulära trombotiska händelser, och inga dödsfall.

Barn (n = 30) som behandlades profylaktiskt med Alprolix hade en median ABR på 2,0 totalt och inga spontana blödningar i leder. Av alla behandlade patienter upplevde 10 av 30 (33 %) inga blödningar och 19 av 30 (63 %) rapporterade inga blödningar i leder under studien. Sammantaget kontrollerades 92 procent av blödningarna med en eller två injektioner av Alprolix. Efter en övergång till behandling med Alprolix, förlängde 80 procent av barnen sina doseringsintervall jämfört med tidigare behandling, och nästan alla kvarstod under hela studien på profylaktisk dosering en gång i veckan.

”Dessa data på barn bekräftar den väl karakteriserade effekt- och säkerhetsprofil som visats för Alprolix i studier på vuxna och ungdomar med hemofili B, och förstärker den över två år långa och robusta erfarenhet som finns av Alprolix i kliniska vardagen”, säger Maha Radhakrishnan, MD, senior vice president of medical på Bioverativ. ”Tillsammans med Sobi har vi åtagit oss att främja och utveckla vården av personer med hemofili runt om i världen.”

”Genom Fc-fusionsteknologin, använder Alprolix kroppens naturliga sätt att förlänga den tid som behandlingen finns kvar i kroppen”, säger Krassimir Mitchev, MD, PhD, senior vice president and medical therapeutic head of haemophilia på Sobi. ”Tillsammans med Bioverativ, strävar vi efter att främja studier av användning av Alprolix i den kliniska vardagen och fortsätter att utforska potentialen hos Fc-fusionsteknologi för att möta de betydande och otillfredsställda behov som återstår inom hemofiliområdet.”

Om Kids B-LONG

Kids B-LONG var en global, öppen, multicenter fas 3-studie som omfattade 30 pojkar under 12 år med svår hemofili B (faktor IX-aktivitet lika med eller mindre än 2 IE per dl, eller 2 %) med åtminstone 50 tidigare exponeringsdagar av faktor IX-behandling. Kids B-LONG är den hittills största studien som utvärderar faktor IX-behandling med förlängd halveringstid hos barn med hemofili B. Studien genomfördes vid 16 hemofilibehandlingscenter i Australien, Hong Kong, Irland, Nederländerna, Sydafrika, Storbritannien, och USA. Sammantaget 27 deltagare (90 %) fullföljde studien. Mediantiden deltagarna tillbringade i studien var 49,4 veckor, och 24 deltagare fick injektioner med Alprolix vid åtminstone 50 separata dagar (exponeringsdagar).

Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa, Coagulation Factor IX (Recombinant), Fc Fusion Protein) är en rekombinant faktorterapi som utvecklats för hemofili B och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Det har skapats 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 fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen är kvar och har effekt i kroppen (halveringstid). Även om Fc-tekniken har använts under 15 år, har Sobi och Bioverativ förädlad teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Alprolix tillverkas med en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B inom EU, Island, Liechtenstein, Norge och Schweiz där det marknadsförs av Sobi, samt i USA, Kanada, Japan, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och i andra länder där Bioverativ har marknadsföringsrättigheterna.

Allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer har observerats vid behandling med Alprolix av hemofili B, inklusive i tidigare obehandlade patienter. Notera att indikationen för tidigare obehandlade patienter inte är inkluderad i [EUs produktinformation](#).

Om hemofili B

Hemofili (blödarsjuka) B orsakas av väsentligt minskad eller ingen faktor IX-aktivitet, vilken är nödvändig för att blodet ska levra sig. Enligt World Federation of Hemophilia är ca 28 000 personer runt om i världen diagnosticerade med hemofili B.ⁱ

Personer med hemofili B upplever blödningstillfällen i leder och muskler som kan orsaka smärta, ge upphov till försämrad rörlighet och bestående leddskador. I värsta fall kan blödningstillfällen orsaka blödningar i organ och livshotande blödningar. Injektioner med faktor IX kan tillfälligt ersätta de koagulationsfaktorer som behövs för att kontrollera blödningar, och när det används profylaktiskt förhindra blödningar.ⁱⁱ

Om Bioverativ

Bioverativ (NASDAQ: BIVV) är ett globalt bioteknikföretag inriktat på att förändra livet för personer med hemofili och andra sällsynta blödningsrubbnings genom forskning i världsklass, utveckling och kommersialisering av innovativa behandlingar. Bioverativ lanserades 2017 efter att ha knoppats av från Biogen Inc. och företaget bygger på en stark historia av vetenskaplig innovation och inriktar sig på att arbeta aktivt för människor med blödningsrubbnings. Bolagets affärsidé är att nå framsteg för patienter där de som mest behöver det. Bolagets hemofilibehandlingar representerade vid lansering de första större framstegen inom behandlingen av hemofili på över två årtionden. För mer information, besök www.bioverativ.com eller följ @bioverativ på Twitter.

Bioverativ skapades som en avknoppning från Biogens hemofiliverksamhet och separerades från Biogen den 1 februari 2017. Bioverativ är ett oberoende publikt företag med huvudkontor i Waltham, Massachusetts, USA. Under en tillfällig övergångsfas, som innefattar tid för Bioverativ att etablera vissa licenser och tillstånd för Eloctate® och Alprolix, har både Bioverativ och Biogen ett förhållande till produkterna.

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

Om Sobis och Bioverativs samarbete

Sobi och Bioverativ samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix och Elocta/ELOCTATE. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera Elocta och Alprolix på sina marknader, i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt de flesta marknader i Mellanöstern. Bioverativ har utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter 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.