

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 6 juli 2017

Sobi och Bioverativ lyfter fram sitt åtagande för att förbättra vården för personer med hemofili vid årets ISTH-kongress

Nya data om ledsjukdom, immuntoleransinduktion och långsiktig livskvalitet understryker bolagens engagemang att möta ouppfyllda behov inom behandling och vård av personer med hemofili.

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) (STO: SOBI) och [Bioverativ Inc.](#) (NASDAQ: BIVV) meddelar idag att nya resultat avseende deras behandlingar med förlängd halveringstid, Alprolix® (eftrenonacog alfa) [(rekombinant) koagulationsfaktor IX, Fc fusionsprotein] och Elocta® (efmoroctocog alfa), som marknadsförs som ELOCTATE® [(rekombinant) antihemofilfaktor, Fc fusionsprotein] i USA, Japan och Kanada, kommer att presenteras på kongressen för International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) 2017, en årlig kongress som under 2017 äger rum i Berlin, Tyskland, 8-13 juli.

Forskare och ansvariga prövare kommer att presentera nya resultat av långsiktiga data från fortsättningsstudierna ASPIRE och B-YOND som gjorts på barn, ungdomar och vuxna, vilka ger ytterligare stöd för den långsiktiga säkerheten och effekten av Alprolix och Elocta. Resultat från den första och enda långtidsstudien av ledsjukdom hos patienter som erhållit profylaktisk behandling med koagulationsfaktorpreparat med förlängd halveringstid kommer också presenteras. Dessa data och ytterligare rön om ledsjukdom och långsiktig livskvalitet speglar företagens åtagande att möta ouppfyllda behov inom hemofiliområdet.

“Funktionsnedsättande ledsjukdom är en vanlig och besvärlig komplikation för människor med hemofili”, säger Maha Radhakrishnan, MD, Senior Vice President, Medical, Bioverativ. “Nya data som stödjer inverkan av Elocta och Alprolix på den långsiktiga ledhälsan vid profylaktisk användning kommer att presenteras på ISTH, vilket är i linje med vårt fortsatta fokus på att förbättra vården och de långsiktiga kliniska resultaten för personer som lever med hemofili.”

De flesta blödningarna hos personer med svår hemofili A och B inträffar i lederna, och ledsador är den allra vanligaste komplikationen.¹ Data som presenteras på ISTH visar förbättringar enligt den modifierade bedömningskalan för ledsjukdom vid hemofili, lägre antal blödningar per år framförallt i de värst drabbade lederna hos personer som får profylaktisk behandling med Alprolix och Elocta. Den långsiktiga säkerheten och effekten av dessa preparat kommer också att presenteras på kongressen.

”Nya data bekräftar att behandling med Elocta och Alprolix kan upprätthålla låg blödningsfrekvens och därmed bidra till att förbättra den långsiktiga livskvaliteten för personer med hemofili A och B”, säger Krassimir Mitchev, MD, PhD, Vice President and Medical Therapeutic Area Head of Haemophilia på Sobi. ”Baserat på hemofilirelaterade livskvalitetsmått, visar resultaten förbättringar hos patienter som använt dessa behandlingar under flera år, och där den mest påtagliga förbättringen återfinns inom området för fysisk hälsa, sport och fritid.”

Vid substitutionsterapi med koagulationsfaktorer är en av de allvarligaste komplikationerna för personer med hemofili utveckling av neutraliserande antikroppar, och behandling av antikroppar mot faktorkoncentrat s.k. immuntoleransinduktion (ITI) kan innebära en betydande belastning för patienten samt försämrad livskvalitet. En retrospektiv internationell (USA och Kanada) kartläggning av ELOCTATE som använts för ITI på patienter med svår hemofili A och som utvecklat neutraliserande antikroppar, kommer också att diskuteras i en posterpresentation.

Symposium:

Utöver att presentera nya kliniska resultat på kongressen, så kommer Sobi och Bioverativ att vara värdar för ett företagssponsrat vetenskapligt symposium, “Fc extended half-life recombinant factor concentrates: Recent updates on haemophilia management and treatment goals” den 10 juli kl. 13:15–14:30 CEST. Med stöd av globala patientfallsrapporter kommer presentationen fokusera på Fc-fusionfaktorerers egenskaper, utveckling av nya metoder och tekniker för att hantera hemofili, samt erfarenheter från initiering och fortsatta behandlingar med Elocta/ELOCTATE och Alprolix i klinisk vardag, och deras effekt på de långsiktiga behandlingsmålen.

Presentationerna innefattar följande höjdpunkter:

Det senaste om immuntoleransinduktion i sammandrag

- “rFVIII Fc For Immune Tolerance Induction in Severe Haemophilia A Patients With Inhibitors – A Retrospective Analysis” – Poster LB 04 - måndag den 10 juli kl. 12:00–13:15 CEST

Ledhälsa - sammanfattningar

- Long-Term Impact of rFVIII Fc Prophylaxis in Paediatric, Adolescent, and Adult Subjects with Target Joints and Severe Haemophilia A – Poster #212 – måndag den 10 juli, kl. 12:00–13:15 CEST
- Longitudinal Modified Haemophilia Joint Health Scores (mHJHS) in Children, Adolescents, and Adults with Severe Haemophilia A With Long-term rFVIII Fc Prophylaxis – Poster #946 – tisdag, den 11 juli, kl. 12:00–13:15 CEST
- Target Joint Outcomes with Prophylaxis with rFIX Fc in Adults and Adolescents with Haemophilia B: Updated Results from B-YOND – Poster #961 – tisdag den 11 juli, kl. 12:00–13:15 CEST

Utfall från livskvalitetsmätningar - sammanfattningar

- Long-Term Quality-of-Life Outcomes with rFIXFc in Adults with Haemophilia B: Results from B-LONG and B-YOND – Poster #968 – tisdag den 11 juli, kl. 12:00–13:15 CEST
- Long-Term Quality-of-Life Outcomes with rFVIII Fc Prophylaxis in Adult Subjects with Severe Haemophilia A – Poster #1783 – onsdag den 12 juli, kl. 12:00–13:15 CEST

Långtidseffekt och säkerhet - sammanfattningar

- Efficacy and Safety of rFVIII Fc Prophylaxis in Pediatric, Adolescent, and Adult Subjects with Severe Haemophilia A Over 3-4 Years: The ASPIRE Study – Poster #1774 – onsdag den 12 juli, kl. 12:00–13:15 CEST

Sammanfattningarna finns tillgängliga via [hemsidan för ISTH 2017](#).

Om hemofili A och B

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt. Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 födda pojkar per år. Hemofili B förekommer hos ungefär en av 28 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili förekommer mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 180 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.ⁱ

Personer med hemofili A eller B upplever blödningstillfällen som kan orsaka smärta, ge upphov till bestående ledskador samt livshotande blödningar. Profylaktiska injektioner av faktor VIII eller IX kan tillfälligt ersätta de koagulationsfaktorer som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar.ⁱⁱ The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylaktisk behandling eftersom sådan kan förhindra blödningar och leddestruktion.ⁱⁱⁱ

Om Elocta®

Elocta® (efmoroctocog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktorterapi som utvecklats för hemofili A och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Elocta har skapats 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 fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen finns kvar i kroppen. Även om Fc-tekniken under 15 år har använts inom andra terapiområden, har Sobi och Bioverativ 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 inom EU, Schweiz, Island, Liechtenstein, Norge, Schweiz, Kuwait och Saudiarabien där det marknadsförs av Sobi. I USA, Japan, Kanada, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och andra länder är produkten godkänd som Elocate® [(rekombinant) antihemofilifaktor, Fc fusionsprotein], och Bioverativ har marknadsföringsrättigheterna.

Som för faktorerättningspreparat i allmänhet kan allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer ske vid behandling av hemofili A. Inhibitorer har rapporterats vid behandling med Elocta/Elocate inklusive hos tidigare obehandlade patienter. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i [EU Product Information](#) för Elocta.

Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa) [(rekombinant) koagulationsfaktor IX, Fc fusionsprotein] är en rekombinant koagulationsfaktorterapi 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 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 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 patients inte är inkluderad i [EUs produktinformation](#).

Om Sobis och Bioverativs samarbete

Sobi och Bioverativ 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 de flesta marknader i Mellanöstern). Bioverativ har tillverkningsansvar för Eloctate/Elocta och Alprolix och har utvecklings- och kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom på Sobis marknader.

Om Bioverativ

Bioverativ är ett globalt bioteknikföretag inriktat på att förändra livet för personer med hemofili och andra sällsynta blödningsrubbingar 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 blödningsrubbingar. Bolagets mission 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 <http://www.bioverativ.com> eller följ @bioverativ på 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 såräkemedel 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 2016 till 5.2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 760. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information, vänligen kontakta:

Media relations Sobi

Linda Holmström, Senior Communications Manager
+ 46 708 73 40 95
linda.holmstrom@sobi.com

Media relations Bioverativ

Marianne McMorrow
+1 781 663 4376
media@bioverativ.com

Investor Relations Sobi

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations
+1 347 224 0819
jorgen.winroth@sobi.com

Investor Relations Bioverativ

Susan Altschuller
+1 781 663 4360
IR@bioverativ.com

ⁱ World Federation of Hemophilia. Annual Global Survey 2015, published in October 2016. Available at: <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1669.pdf>. Accessed on May 23, 2017.

ⁱⁱ World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: <http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637>. Accessed on May 23, 2017.

ⁱⁱⁱ World Federation of Hemophilia. Guideline for the management of hemophilia, 2nd edition. Available at: <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Accessed on May 23, 2017.