

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 11 december 2017

### **Nya data visar att längre doseringsintervall med Alprolix® ger ett säkert och effektivt profylaktiskt skydd för personer med svår hemofili B**

*En post hoc longitudinell analys av studierna B-LONG och B-YOND visar att patienter som övergick till ett profylaktiskt doseringsintervall på 14 dagar eller längre med Alprolix bibehöll en låg årlig blödningsfrekvens*

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™)(STO:SOBI) och [Bioverativ Inc.](#) (NASDAQ: BIVVV) publicerar idag resultaten av en ny post hoc longitudinell analys som visar att ett individualiserat doseringsintervall på 14 dagar eller längre med Alprolix® (eftrenonacog alfa) kan utgöra ett potentiellt alternativ för personer med svår hemofili B som önskar profylaktiskt skydd med minskad behandlingsbörda. Analysen redovisas i en posterpresentation vid den amerikanska hematologiföreningens, ASH (American Society of Hematology), 59:e årliga kongress.

Alprolix är en rekombinant koagulationsfaktor IX-behandling som genom Fc-fusionsteknologi har förlängd cirkulationstid i kroppen. Alprolix är den behandling med förlängd halveringstid för hemofili B där det finns längst erfarenhet från klinisk vardag. Över 150 vuxna, ungdomar och pediatrika patienter har undersökts över en treårsperiod som del av ett omfattande kliniskt utvecklingsprogram och en uppföljningsstudie.

Med data från den pivotala fas 3-studien B-LONG som inkluderade 123 patienter, samt från den långsiktiga uppföljningsstudien av Alprolix, B-YOND som inkluderade 93 patienter från B-LONG, har forskare utvärderat de långsiktiga resultaten hos 22 vuxna och ungdomar  $\geq 12$  år som övergått till ett långsiktigt profylaktiskt doseringsintervall på 14 dagar eller längre. Analysen visade att dessa studiedeltagare uppnådde ett kontinuerligt blödningskydd i upp till tre år med förlängt profylaktiskt doseringsintervall.

”Dessa data visar att en individuellt anpassad profylaxbehandling med Alprolix, med veckovisa eller 10-dagars doseringsintervall till en början och möjlighet att förlänga till 14 dagar eller längre, har potential att leverera optimalt skydd mot blödningar hos personer med hemofili B”, sa Maha Radhakrishnan, M.D., Senior Vice President of Medical på Bioverativ. ”Individualiserade doseringsintervall ger patienter och läkare möjlighet att anpassa behandlingsprogrammen för att balansera behovet att maximera blödningskyddet och samtidigt minimera behandlingsbördan. Vi står fast vid vårt åtagande att förbättra de långsiktiga behandlingsresultaten för personer med hemofili B.”

De 22 deltagarna som var föremål för denna longitudinella analys hade varierande behandlingsregimer före studien och en del individer bytte till förlängt doseringsintervall vid någon tidpunkt under studiens gång. Före behandling med Alprolix, stod tio av de 22 studiedeltagarna på profylaxbehandling och tolv stod på vid-behovsbehandling. Resultaten från analysen visade att:

- Patienter som stod på profylaxbehandling före studien var väl skyddade med utökade doseringsintervall på 14 dagar eller längre, med en årlig blödningsfrekvens (ABR) på 1,8 jämfört med 2,0 före studien.
- Medianvärdet för ABR minskade från 25 (22–36) till 1,4 (0,6–5,8) för de deltagare som erhållit vid-behovsbehandling före studien.
- Mediantiden (IQR) för behandlingen med doseringsregim på  $\geq 14$  dagar hos de 22 patienterna var 3,4 (1,8–4,0) år.
- Studiedeltagare som behandlades med  $\geq 14$ -dagens doseringsintervall var välkontrollerade med ett medianvärde för akuta ABR på 0,7 över 3 år.

”Dessa studieresultat från Alprolix-dosering med en till två veckors mellanrum förstärker vår långa erfarenhet av att framgångsrikt leverera långtidsverkande blödningskydd, inklusive skydd mot akuta blödningar samt ledblödningar vid hemofili B”, sa Armin Reininger, M.D., Ph.D., Head of Medical and Scientific Affairs på Sobi. ”I samarbete med Bioverativ fortsätter vi att utforska potentialen att minska sjukdomsburden med Alprolix och skapa en meningsfull förbättring i livet för personer med hemofili.”

Tidigare på ASH presenterade Bioverativ data från den prekliniska bilddiagnostikstudien: Extravaskulär distribution av konventionella och EHL FIX-produkter med in vivo SPECT-bildanalys av möss med hemofili B, som visade att Alprolix påvisar högre vävnadsdistribution och lagring i ledområdena jämfört med andra faktor IX-molekyler. Dessa resultat var del av ett pågående bildtekniksamarbete med Invicro, LLC, för att undersöka effekterna av extravaskulär distribution av faktor IX-behandlingar, inklusive Alprolix, vad gäller blödningskydd och förbättrad ledhälsa.

---

### Om uppföljningsstudien B-YOND

I B-YOND ingick 116 tidigare behandlade män eller pojkar, varav 93 deltagare (81%) har fullföljt B-LONG och 23 (100%) har fullföljt Kids B-LONG. Det primära effektmåttet var utveckling av inhibitorer. Sekundära effektmått inkluderade det årliga antalet blödningstillfällen per individ (inklusive frekvensen akuta ledblödningar), antal behandlingsdagar med Alprolix per deltagare, konsumtionen av Alprolix (totalt IU/kg per person och år), samt deltagarens bedömning av hur behandlingen svarat vid ett blödningstillfälle.

### Om hemofili B

Hemofili (blödersjuka) B orsakas av väsentligt minskad eller ingen faktor IX-aktivitet, vilken är nödvändig för att blodet ska levra sig.<sup>i</sup> Enligt World Federation of Hemophilia är ca 29 700 personer runt om i världen diagnostiserade med hemofili B.<sup>ii</sup>

Personer med hemofili B upplever blödningstillfällen i leder och muskler som kan orsaka smärta, ge upphov till försämrad rörlighet och bestående ledsador. 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.<sup>i</sup>

### **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, Kuwait, Norge, Saudiarabien 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 den europeiska produktinformationen.

### **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 företag inriktat på biologiska läkemedel med syfte 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 mission är att nå framsteg för patienter där de som mest behöver det. Bolagets hemofilbehandlingar 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. Vårt 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 sår-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 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](http://www.sobi.com).

### **För mer information, vänligen kontakta:**

#### **Media relations**

Linda Holmström, Senior Communications Manager  
+46 708 73 40 95  
[linda.holmstrom@sobi.com](mailto:linda.holmstrom@sobi.com)

#### **Investor relations**

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations  
+1 347 224 0819, +1 212 579 0506  
[jorgen.winroth@sobi.com](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)

---

<sup>i</sup> World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: [http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference\\_A\\_B](http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B). Accessed on: June 17, 2016

<sup>ii</sup> World Federation of Hemophilia, Annual Global Survey 2016, published in October 2017. Available at: <http://www.wfh.org/en/data-collection>