



## PRESSMEDDELANDE

### **Biogen Idec och Sobi presenterar data för sin långverkande rekombinanta faktor VIII terapi på kongressen International Society on Thrombosis and Haemostasis**

-Resultaten visar på potential att signifikant underlätta behandlingen av personer med hemofili A-

**Stockholm och Weston, MA, USA, den 26 juli 2011** – Biogen Idec (NASDAQ: BIIB) och Swedish Orphan Biovitrum (Sobi) (STO:SOBI) meddelade idag resultaten från en fas I/IIa klinisk prövning som visar att företagets långverkande helt rekombinanta faktor VIII fusions protein (rFVIIIc) var värtolererat och visade en ungefärlig förlängning på 1.7 gånger i halveringstid jämfört med Advate®, en kommersiellt tillgänglig produkt, i 16 tidigare behandlade patienter med svår hemofili A. Resultaten, som var konsistenta för alla patienter och doseringsnivåer, presenterades idag på kongressen "The XXIII Congress of the International Society on Thrombosis and Haemostasis" i Kyoto, Japan.

"Denna kliniska prövning är ett framsteg när det gäller att möta behovet av en långverkande rekombinant faktor VIII produkt" säger Dr Neil Josephson, en av huvudprövarna i fas III studien för rFVIIIc (A-LONG) och associerad professor vid Hematologiska enheten vid University of Washington School of Medicine, Seattle, Washington i USA. "Resultaten från denna fas I/IIa studie visar att rFVIIIc har en förlängd halveringstid och potential att ge ett längre skydd mot blödning och minska antalet injektioner som är nödvändiga för profylaktisk behandling av svår hemofili A".

Idag kräver profylaktisk behandling av svår hemofili A intravenösa injektioner tre gånger i veckan eller varannan dag. rFVIIIc är en helt rekombinant koaguleringsfaktor som är designad att ersätta det protein som hemofili A patienter saknar och med syfte att finnas kvar längre i kroppen än de idag marknadsförda faktor VIII produkterna. Den är utvecklad genom användning av Biogen Idec's unika och patenterade Fc-fusionsteknologi där rFVIIIc använder sig av en naturlig mekanism som återcirkulerar rFVIIIc i blodbanan för att förlänga dess halveringstid.

"På Biogen Idec är vi inriktade på att ta fram innovativa behandlingar som innebär förbättringar för personer med hemofili" säger Dr Glenn Pierce, Ph.D. Senior Vice President, Biogen Idec Hemophilia. "Resultaten från studien visar den potential som vår Fc fusionsteknologi har när det gäller att utveckla långverkande koaguleringsfaktorer som kan underlätta behandlingen och öka livskvaliteten för personer med hemofili.

"Resultaten är lovande och stödjer beslutet att gå vidare in i fas III som togs förra året," säger Peter Edman, PhD, forsknings- och utvecklingschef vid Sobi. "Vi är entusiastiska över den potential som rFVIIIc har när det gäller att bidra till en bättre hälsa och ökad livskvalitet hos hemofili A patienter genom att ge ett långverkande skydd mot blödning."

rFVIIIc studeras för närvarande i en pågående öppen, multicenter registreringsstudie (A-LONG) som syftar till att utvärdera säkerhet, farmakokinetik och effekt för förebyggande och behandling av tidigare behandlade hemofili A patienter.

För en tid sedan yttrade sig också den pediatrika kommittén (PDCO) inom den Europeiska Läkemedelsmyndigheten EMA, (European Medicines Agency) för ett godkännande av den pediatrika planen för rFVIIIc. Som en följd av PDCO's yttrande planerar Biogen Idec och Sobi att starta en global pediatrik studie i tidigare behandlade barn under 12 år så snart det finns tillräckliga resultat från studien i äldre patienter. Enligt det utkast till riktlinjer för utveckling av faktor VIII produkter som EMA publicerat kommer det att vara ett krav att

<sup>1)</sup>rekombinant antihemofilifaktor, plasma/albuminfri metod, rFVIII

inkludera resultat från denna pediatrika studie i den initiala registreringsansökan för marknadsgodkännande till EMA.

### **Om fas I/IIa studien**

Fas I/IIa studien var en öppen, cross-over, multicenter, doseskalering studie för att utvärdera säkerheten och farmakokinetiken av en intravenös injektion av rFVIII-Fc i 16 tidigare behandlade patienter med svår hemofili A. Det primära syftet med fas I/IIa-studien var att undersöka säkerheten hos rFVIII-Fc vid olika doser och det sekundära syftet var att uppskatta de farmakokinetiska-parametrarna för rFVIII-Fc vid doser från 25 till 65 IE/kg.

rFVIII-Fc var vältolererad i denna studie med engångsdosering och inga allvarliga läkemedelsrelaterade biverkningar rapporterades. Någon form av biverkning (sk adverse event) rapporterades i 11 av de 16 patienterna, varav en klassades som relaterad till studieläkemedlet - förändrad smakupplevelse. Inga tecken på reaktioner vid injektionsstället, inhibitorutveckling eller anti-rFVIII-Fc-antikroppar iaktogs.

rFVIII-Fc visade en ungefärlig förlängning på 1.7 gånger i halveringstid jämfört med Advate. Andra farmakokinetiska parametrar såsom genomsnittlig uppehållstid i cirkulationen och "ytan under kurvan" (AUC) ökade i motsvarande grad. Dessutom visade maxvärdet för serumkoncentrationen och AUC en ökning som var proportionell till den administrerade dosen relativt Advate. Advate och rFVIII-Fc hade jämförbara och dosberoende maxvärden i plasmakoncentrationen och jämförbart återställande av FVIII-nivåer.

### **Om FC fusionsteknologin och det långverkande rekombinanta utvecklingsprogrammet inom hemofili**

Utvecklingsprogrammet är baserat på Biogen Idec:s egen fusionsteknologi, som använder sig av ett naturligt förlopp som återcirkulerar rFVIII-Fc i blodbanan för att förlänga dess halveringstid, vilket möjliggör att faktorkoncentratet kan finnas kvar längre i kroppen efter en injektion.

Biogen Idec och Swedish Orphan Biovitrum använder sig av samma unika och patenterade Fc-fusionsteknologi i sin utveckling av ett helt rekombinant långverkande faktor IX Fc-fusionsprotein (rFIX-Fc) för behandling av hemofili B. rFIX-Fc studeras i en pågående öppen, multicenter registreringsstudie (B-LONG) som har till syfte att utvärdera säkerhet, farmakokinetik och effekt i hemofili B patienter. Mer information om rFIX-Fc och rFVIII-Fc studierna finns på [www.biogenidechemophilia.com](http://www.biogenidechemophilia.com) eller [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov).

### **Om hemofili A**

Hemofili (blödarsjuka) A är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt. Hemofili A uppträder i ungefär ett fall på 5 000 födda pojkar per år och beror på kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor VIII-proteinet, som krävs för normal blodlevring. Personer med hemofili A behöver därför injektioner av faktor VIII för att återställa levringsprocessen och förhindra upprepade blödningar som annars kan leda till smärta, permanenta skador på leder och livshotande blödningar. Profylaktisk behandling med intravenösa injektioner tre gånger i veckan eller varannan dag för att upprätthålla en tillräcklig cirkulerande nivå av koagulationsfaktor används alltmer. Långsiktiga studier visar att denna form av behandling ökar patientens förväntade livslängd och kraftigt minskar, eller till och med helt eliminerar, den successiva nedbrytningen av lederna.

### **För ytterligare information, kontakta**

#### **Biogen Idec Media Contact:**

Tracy Vineis  
Senior Manager, Public Affairs  
Tel: +1 (781) 464-3260

#### **Swedish Orphan Biovitrum:**

Peter Edman, Forsknings- och utvecklingschef  
Tel: +46 8 629 21 77  
[peter.edman@sobi.com](mailto:peter.edman@sobi.com)

#### **Biogen Idec Investor Relations Contact:**

Kia Khaleghpour  
Associate Director, Investor Relations  
Tel: +1 (781) 464-2442

**Om Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)**

Sobi är ett ledande europeiskt specialistläkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla och utveckla specialistläkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar och stora medicinska behov. Produktportföljen innehåller cirka 60 marknadsförda produkter samt projekt i sen klinisk fas. Viktiga behandlingsområden är blodsjukdomar, autoimmuna sjukdomar, ärftliga metabola sjukdomar och behandlingar vid cancer. Sobis intäkter uppgick 2010 till 1,9 mdr SEK och antalet anställda var cirka 500. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

*Informationen ovan är sådan som offentliggjorts enligt lagen om värdepappersmarknaden och/eller lagen om handel med finansiella instrument. Informationen lämnades för offentliggörande den 26 juli 2011 kl 06.30.*