



BIOGEN IDEC OCH SOBI MEDDELAR POSITIVA RESULTAT FRÅN FAS III STUDIEN AVSEENDE LÅNGVERKANDE REKOMBINANT FAKTOR VIII FC FUSIONSPROTEIN FÖR BEHANDLING AV HEMOFILI A

- Individanpassad profylaktisk behandling en gång per vecka visade en låg ensiffrig årlig blödningsfrekvens.
- 98% av blödningarna kunde kontrolleras med en eller två injektioner av rFVIII Fc.
- Inga patienter utvecklade inhibitorer mot rFVIII Fc.
- De primära effekt- och säkerhetsparametrarna uppnåddes och Biogen Idec förväntas lämna in en registreringsansökan till FDA i USA under första halvåret 2013.

Weston, Mass, USA och Stockholm, Sverige – den 31 oktober 2012 – Biogen Idec (NASDAQ: BIIB) och Swedish Orphan Biovitrum (Sobi) (STO: SOBI) meddelade idag positiva resultat från A-LONG studien, en klinisk studie som utvärderat en ny långverkande koagulationsfaktor för behandling av personer med hemofili A. Hemofili A är en sällsynt ärftlig rubbning som innebär att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt.

Resultaten från A-LONG, en global, multicenter klinisk fas III studie, av de båda företagens långverkande rekombinanta faktor VIII Fc fusionsprotein visade att rFVIII Fc var effektiv vad gäller kontroll och förebyggande av blödningar, vid rutinprofylax och vid kirurgisk profylax. Rekombinant FVIII var generellt vältolererad. Ytterligare analyser av studien pågår och fler resultat beräknas kunna presenteras vid ett framtida vetenskapligt möte.

Biogen Idec planerar att lämna in en registreringsansökan till det amerikanska läkemedelsverket FDA under första halvåret 2013. I enlighet med de riktlinjer som publicerats av Europeiska läkemedelsverket EMA, som ställer krav på en studie i barn under 12 år innan registreringsansökan kan lämnas in, planerar Biogen Idec och Sobi att lämna in en sådan ansökan när den pågående Kids A-LONG studien slutförts.

“Resultaten visar att rFVIII Fc har potential att förbättra vården av personer med hemofili A genom att erbjuda skydd mot blödningar med en mindre krävande behandling”, säger Glenn Pierce, M.D., Ph.D., senior vice president of Global Medical Affairs och medicinsk chef för Biogen Idec's terapiområde Hemofili. “Vi delar den entusiasm som deltagarna och de kliniska prövarna i studien känner tillsammans med övriga intressenter inom hemofiliområdet, vilket möjliggjort en snabb rekrytering av patienter. Vi arbetar intensivt med att förbereda vår myndighetsansökan med målsättningen att kunna erbjuda rFVIII Fc till patienter med hemofili A så fort som möjligt”.

“Vi är mycket entusiastiska över de positiva resultaten från A-LONG studien, som innebär ett stöd för användningen av Fc-fusionsteknologin för att förlänga faktoraktiviteten och potentiellt erbjuda ett utökat skydd mot blödning” säger Sobis VD Geoffrey McDonough. “Slutsatserna från A-LONG studien tillsammans med de nyligen presenterade resultaten från B-LONG studien

avseende vårt långverkande faktor IX Fc fusionsprotein för hemofili B, innebär betydande framsteg inom hemofiliområdet.”

Summering av viktiga resultat från A-LONG

A-LONG studien inkluderade 165 manliga patienter 12 år och äldre. Studien hade tre behandlingsgrupper: individanpassad profylax, profylax en gång per vecka samt behandling vid behov. (Behandlingsgrupp 1,2 och 3). I en undergrupp med patienter från alla behandlingsgrupperna utvärderades rFVIIIFc vid kirurgisk profylax för patienter som genomgick ett större kirurgiskt ingrepp under studien.

Totalt 93% av patienterna avslutade studien och rekombinant FVIIIFc var generellt vältolererat. Inga inhibitorer observerades och inga fall av anafylaxi rapporterades för någon av patienterna som alla bytt från kommersiellt tillgängliga faktor VIII produkter. Inga allvarliga biverkningar bedömdes som relaterade till studieläkemedlet. De vanligaste biverkningarna (mer än eller lika med 5%) med undantag för kirurgigruppen var inflammation i näsa och svalg (nasofaryngit), ledsmärta (artralgi), huvudvärk och infektion i övre luftvägarna.

Medianvärdet för årlig blödningsfrekvens (inklusive spontana och traumatiska blödningar) var 1,6 i gruppen som fick individanpassad profylax, 3,6 i gruppen som fick behandling 1 gång per vecka samt 33,6 i den grupp som fick behandling vid behov. I gruppen som fick individanpassad profylax var median-intervallet för behandling 3,5 dagar. För 30% av patienterna i gruppen med individanpassad profylax var median-intervallet för behandling 5 dagar under de sista tre månaderna av studien.

Hur väl en blödning kunde kontrolleras mättes hos alla patienter som fick en blödning under den tid studien pågick. Totalt kunde 98% av blödningarna kontrolleras med en eller två injektioner av rFVIIIFc.

Rekombinant FVIIIFc studerades dessutom under kirurgiska ingrepp i en behandlingsgrupp med 9 patienter som genomgick 9 större kirurgiska ingrepp. De behandlande läkarna graderade den hemostatiska behandlingen som "utmärkt" eller "bra" i 100% av fallen.

A-LONG inkluderade en farmakokinetisk profil av rFVIIIFc i alla patienter som ingick i studien. I en fördefinierad undergrupp av patienterna för vilka ytterligare parametrar studerades var halveringstiden för rFVIIIFc 19,0 timmar jämfört med 12,4 timmar för Advate® (rekombinant FVIII), vilket var i överensstämmelse med resultaten från fas 1/2 studien av rFVIIIFc.

Om A-LONG studien

A-LONG var en global öppen, multicenter fas III studie som utvärderade säkerhet, effekt och farmakokinetik av intravenöst injicerat rFVIIIFc. Studien var upplagd för att utvärdera rFVIIIFc för behandling av blödning, profylaktisk behandling och blödningskontroll under kirurgi hos patienter med hemofili A. Studien omfattade 60 hemofilicentra i 19 länder och 6 kontinenter.

A-LONG studien hade tre behandlingsgrupper. I behandlingsgrupp 1 (individanpassad profylax n=117) behandlades patienterna med en dos på 25-65 IU/kg av rFVIIIFc med en intervall på 3-5 dagar, som därefter individanpassades för att upprätthålla ett tröskelvärde tillräckligt för att

hindra blödning. I behandlingsgrupp 2 (profylax en gång per vecka, n=24) fick patienterna 65 IU/kg en gång per vecka. I behandlingsgrupp 3 (behandling vid behov, n=23), fick patienterna rFVIIIFc vid behov för att behandla blödning. I en undergrupp med patienter från alla behandlingsgrupperna utvärderades rFVIIIFc under kirurgiska ingrepp.

De primära effekt- och säkerhetsparameterna var årlig blödningsfrekvens (ABR) och frekvensen av biverkningar och inhibitorer över en tidsperiod på upp till 52 veckor. Sekundära parametrar inkluderade mätning av hur behandlingen uppfattades och den farmakokinetiska profilen av rFVIIIFc jämfört med Advate®.

Pågående kliniska prövningar av rFVIIIFc inkluderar Kids A-LONG och ASPIRE. Kids A-LONG, är en öppen fas III studie i tidigare behandlade barn under 12 år med hemofili A, som aktivt rekryterar patienter. ASPIRE är en öppen långtidsstudie för patienter som har avslutat A-LONG eller som avslutat Kids A-LONG.

Om Fc-fusionsteknologi

rFVIIIFc är ett rekombinant FVIII Fc-fusionsprotein som utvecklats genom att använda Biogen Idec's egna monomeriska Fc-fusionsteknologi. Denna teknologi använder sig av en naturlig mekanism som återcirkulerar rFVIIIFc i kroppen för att förlänga dess aktiva tid i blodbanan. rFVIIIFc är designad med denna teknologi för att ge långvarigt skydd mot blödning och att för reducera den omfattande och tyngande behandling som för närvarande kräver upp till 180 injektioner per år med kommersiellt tillgängliga faktor VIII produkter för att uppnå ett profylaktiskt skydd mot blödning. Fc-fusions teknologien används i sju FDA godkända produkter för långtidsbehandlingar av kroniska sjukdomar såsom reumatoid artrit, psoriasis och blodplättssjukdomar.

Biogen Idec och Sobi använder sig av samma Fc-fusionsteknologi vid utveckling av ett rekombinant långverkande faktor IX Fc fusionsprotein (rFIXFc) för behandling av blödningar och rutinprofylax vid hemofili B. Den 26 september presenterade bolagen resultat från B-LONG, en global fas III studie av rFIXFc i patienter med hemofili B. För mer information om Biogen Idec's hemofiliprogram se www.biogenidechemophilia.com.

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. The Medical and Scientific Advisory Council of the National Hemophilia Foundation i USA rekommenderar profylaktisk behandling som den optimala terapin för personer med svår hemofili A. Vid profylaktisk behandling av hemofili A krävs idag injektioner tre gånger i veckan eller varannan dag för att upprätthålla en tillräcklig cirkulerande nivå av koagulationsfaktor.



För ytterligare information, kontakta

Åsa Stenqvist, Informationsdirektör (Interim)
Tel. 08 697 21 88

Webcast

Biogen Idec och Sobi kommer att hålla en webcast idag kl 14.00 CET för att diskutera resultaten från A-LONG. Tidigare presenterade resultat från B-LONG fas III studien kommer också att kommenteras.

För att delta i konferensen gå till sektionen "Investors" på Biogen Idec's hemsida www.biogenidec.com.

Om Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen är främst inriktad på inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar samt tre projekt i sen klinisk fas inom hemofili och neonatologi. Sobi marknadsför även mer än 40 produkter på uppdrag av olika partnerföretag inriktade på specialist- och sällsynta läkemedel. Intäkterna uppgick 2011 till 1,9 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 500. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på 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 31 oktober 2012 klockan 13.00 CET.