

## **PRESSMEDDELANDE**

Cambridge, Mass., USA & Stockholm, Sverige, 10 april 2014

### **Biogen Idec och Sobi meddelar positiva resultat gällande effekt och säkerhet från Kids A-LONG, bolagens fas-3 studie på barn av läkemedelskandidaten Eloctate™ (rFVIII Fc) för hemofili A**

**Data från fas-3 studien av Eloctate visade att profylaktisk behandling med dosering två gånger i veckan resulterade i låg blödningsfrekvens hos barn under 12 år. Studien uppfyllde de primära målen och resultaten möjliggör ansökan om marknadsföringstillstånd inom EU.**

[Biogen Idec](#) (NASDAQ: BIIB) och [Swedish Orphan Biovitrum](#) AB (publ) (Sobi) (STO: SOBI) presenterade idag positiva resultat från fas-3 studien *Kids A-LONG* som har utvärderat säkerhet och effekt för barn med svår hemofili A av Eloctate™, ett rekombinant faktor VIII Fc-fusionerat läkemedel under utveckling för behandling av hemofili A. Eloctate tolererades generellt sett väl och inga inhibitorer (antikroppar som kan motverka aktiviteten av behandlingen) påvisades. Analys av effekt visade att förebyggande (profylaktisk) dosering med Eloctate två gånger i veckan resulterade i låg blödningsfrekvens hos barn.

Kids A-LONG är den första studien som utvärderar långtidsverkande hemofilibehandling hos barn under 12 år. Eloctate utvecklades med en process, s.k. Fc-fusion, vilken förlänger tiden som den injicerade koagulationsfaktorn cirkulerar i kroppen. De positiva studieresultaten understödjer ansökningar om marknadsföringstillstånd av barnindikationen globalt och är ett viktigt steg för att erhålla ett marknadsgodkännande i Europa. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) kräver att barnstudiedata ingår i en marknadsansökan av en ny hemofilibehandling.

“Profylaktisk behandling är rekommenderat för barn med svår hemofili tack vare dess erkända hälsofördelar. Dessvärre är befintliga förebyggande behandlingsscheman av intravenösa injektioner svåra att följa för många barn med hemofili A och för deras föräldrar,” sa Glenn Pierce, M.D., Ph.D., Senior Vice President of Research & Development, Haematology, Cell and Gene Therapies vid Biogen Idec. “Resultaten av denna studie stödjer potentialen för Eloctate att tillgodose behovet av förlängda doseringsintervaller vid förebyggande behandling, för att förhindra blödningar för barn med hemofili A.”

Kids A-LONG undersökte säkerhet, effekt och farmakokinetik (mätningar av hur länge läkemedlet finns kvar i kroppen) av Eloctate i tidigare behandlade barn under 12 års ålder med svår hemofili A. Den primära mätpunkten för studien var inhibitorutveckling under studiens gång och inga inhibitorer uppmättes. Sekundära mätpunkter var antalet blödningstillfällen per år, s.k. annualised bleeding rate (ABR), både för det totala antalet blödningar och för spontana blödningstillfällen. Studien undersökte också hur många doseringstillfällen som krävdes för att stoppa och behandla blödningar.

I studien var den relativa ökningen av halveringstiden för barn med svår hemofili A jämförbar med data rapporterad i A-LONG studien för vuxna och ungdomar, d.v.s. 1,5 gånger längre. Barn som behandlades profylaktiskt med Eloctate hade ett medianvärde av 2,0 för det totala antalet blödningstillfällen och 0,0 för spontana blödningstillfällen. Fyrtiosex procent av deltagarna i studien hade inga blödningstillfällen alls. Totalt 93 procent av blödningstillfällena kunde kontrolleras med hjälp av en eller två injektioner Eloctate. Ytterligare analys av Kids A-LONG-studien pågår och företagen avser att presentera detaljerade resultat vid ett framtida vetenskapligt möte.

“Sobi och Biogen Idec förstår behovet av utveckling av behandlingsalternativen för barn och vuxna med hemofili,” sa Birigtte Volck, M.D., Ph.D., Senior Vice President Development och Chief Medical Officer vid Sobi. “De positiva resultaten av Kids A-LONG-studien av barn under 12 år är ett viktigt steg i att göra detta potentiella nya behandlingsalternativ tillgängligt för vuxna och barn med hemofili A och är en viktig milstolpe som kommer att möjliggöra en ansökan om marknadsföringstillstånd i Europa.”

---

#### **Om Kids A-LONG**

Kids A-LONG var en global, öppen, fas-3 multicenterstudie av 71 pojkar med svår hemofili A (factor VIII-aktivitet mindre än 1 IU/dl) som varit med om minst 50 behandlingstillfällen med annan faktor VIII-behandling. Studien genomfördes vid 23 hemofilimottagningar i åtta länder. Totalt slutförde 67 deltagare (94 procent) studien (33 var under sex år och 34 sex till elva år gamla). Den genomsnittliga tiden som deltagarna deltog i studien var 25 veckor och 61 deltagare fick injektioner med Eloctate vid åtminstone 50 separata behandlingstillfällen i syfte att undersöka inhibitorutveckling.

Alla studiedeltagarna skulle inledningsvis behandlas med förebyggande injektioner Eloctate två gånger i veckan (25 IU/kg dag 1, 50 IU/kg dag 4). Prövningsläkarna kunde justera dosen eller intervallet beroende på hur individen svarade. Cirka 90 procent av studiedeltagarna behandlades två gånger i veckan vid studiens slut.

Eloctate tolererades generellt sätt väl. Inga inhibitorer för Eloctate upptäcktes och inga fall av allvarliga allergiska reaktioner rapporterades från någon av deltagarna, varav alla bytt från någon annan faktor VIII produkt tillgänglig på marknaden. Enligt prövningsläkarna ansågs inga allvarliga biverkningar vara relaterade till behandlingen. Två icke-allvarliga händelser, utslag respektive myalgia (muskulär smärta), ansågs vara relaterade till Eloctate-behandlingen och rapporterades för vardera en patient. Inga deltagare avslutade studien på grund av biverkningar av Eloctate. Rapporterade behandlingsorsakade biverkningar följde det typiska biverkningsmönstret för den studerade gruppen och följde generellt de resultat som sågs hos ungdomar och vuxna i A-LONG-studien.

### **Om Eloctate**

Eloctate är en rekombinant, långtidsverkande koagulationsfaktortterapi under utveckling för hemofili A. Den utnyttjar Fc-fusionsteknologi, som sätter ihop faktor VIII-molekylen med Fc delen från Immunglobulin G subtyp 1 (IgG1, ett vanligt förekommande protein i kroppen). Denna teknologi anses göra det möjligt för Eloctate att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och återcirkulerar Eloctate tillbaka till blodomloppet. Fc-fusionsteknologin har använts i över 15 år. Biogen Idec är det enda företag som applicerar teknologin inom hemofiliområdet.

Marknadsansökningar för Eloctate granskas för tillfället av myndigheter i flera länder inklusive USA, Australien, Kanada och Japan.

### **Om hemofili A**

Hemofili (blödarsjuka) A är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt på grund av kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor VIII-proteinet, som krävs för normal blodlevring. Personer med hemofili A upplever upprepade och förlängda blödningar som kan vara smärtsamma och kan ge permanenta skador på leder. I vissa fall kan dessa blödningar vara livshotande. Enligt World Federation of Hemophilia, finns uppskattningsvis 142,000 diagnostiserade patienter med hemofili A i hela världen.<sup>1</sup> Profylaktiska injektioner av faktor VIII kan temporärt återställa levringsprocessen för att förhindra upprepade blödningar

Utveckling av inhibitorer är en del av kroppens naturliga försvarsmekanism som kan motverka aktiviteten av behandlingen. Omkring 25 till 30 procent av människor med svår hemofili A utvecklar inhibitorer. Oftast uppkommer inhibitorer efter ca 8-10 exponeringsdagar, en siffra som dock kan variera mycket.<sup>2</sup>

### **Om samarbetet mellan Biogen Idec och Sobi**

Biogen Idec och Sobi samarbetar om utvecklingen och kommersialiseringen av rFVIII-Fc och rFIX-Fc. Biogen Idec leder utvecklingen, har tillverkningsrättigheter och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner där Sobi inte är närvarande. Sobi har en option att förvärva rätten till den slutliga utvecklingen och kommersialiseringen i Europa, Ryssland, Mellanöstern och norra Afrika.

### **Om Biogen Idec**

Biogen Idec använder avancerad vetenskap och medicin för att upptäcka, utveckla och leverera till patienter över hela världen innovativa terapier för behandling av neurodegenerativa sjukdomar, hemofili och autoimmuna sjukdomar. Biogen Idec grundades 1978 och är världens äldsta oberoende bioteknikföretag. Patienter över hela världen drar nytta av dess ledande behandlingar inom multipel skleros. För produktmärkning, pressmeddelanden och ytterligare information om företaget, vänligen besök [www.biogenidec.com](http://www.biogenidec.com).

### **Om Sobi**

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar samt tre projekt i sen klinisk fas inom hemofili och neonatologi. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och säräkemedel på uppdrag av olika partnerföretag. Intäkterna uppgick 2013 till 2,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 550. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

---

<sup>1</sup> World Federation of Hemophilia. Annual Global Survey 2012. <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1574.pdf>. Accessed January 28, 2014.

<sup>2</sup> Mariani G, Konkle BA, Kessler CM. Inhibitors in Hemophilia A and B. In: Hoffman R, ed. Hematology : basic principles and practice. 6th ed. Philadelphia, PA: Saunders/Elsevier; 2013:1961-1970.

**For mer information kontakta**

**Sobi**

Media relations:

Oskar Bosson

T: +46 70 410 71 80

[oskar.bosson@sobi.com](mailto:oskar.bosson@sobi.com)

Investor relations:

Jörgen Winroth

T: +1 347-224-0819, +1 212-579-0506, +46 8 697 2135

[jorgen.winroth@sobi.com](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)

**Biogen Idec**

Media Contact:

Lee-Ann Murphy

+1-781-464-3260

[public.affairs@biogenidec.com](mailto:public.affairs@biogenidec.com)

Investor Relations Contact:

Ben Strain

+1-781-464-2442

[IR@biogenidec.com](mailto:IR@biogenidec.com)