

## **PRESSMEDDELANDE**

Cambridge, Massachusetts, USA & Stockholm, Sverige, 31 oktober 2014

### **Europeiska läkemedelsmyndigheten validerar ansökan om marknadsföringstillstånd för Elocta™ (rFVIII Fc)**

[Biogen Idec](#) (NASDAQ: BIIB) och [Swedish Orphan Biovitrum](#) AB (publ) (Sobi) (STO: SOBI) meddelade idag att den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har validerat ansökan gällande marknadsföringstillstånd (MAA) för Elocta. Elocta (rFVIII Fc) är ett rekombinant faktor VIII-fusionsprotein under utveckling för behandling av hemofili A. Valideringen av ansökan, d v s den övergripande kontrollen av att innehållet är komplett, betyder att EMA kan påbörja sin granskning.

Elocta är det europeiska varunamnet för rFVIII Fc, också känt som Eloctate™ (rekombinant koagulationsfaktor VIII Fc-fusionsprotein) i USA, Kanada och Australien, där det är godkänt för behandling av hemofili A. Eloctate är den första rekombinanta koagulationsfaktor-VIII-behandlingen med förlängd cirkulationstid i kroppen, framtagen för att skydda mot blödningar och med en möjlig ökning av tiden mellan profylaktiska injektioner.

“EMAs validering av marknadsansökan för Elocta är ett viktigt steg för att ta denna innovativa behandling till människor med hemofili A i Europa,” sa Douglas E. Williams, Ph.D. executive vice president of Research & Development på Biogen. “Elocta har potentialen att skydda mot blödningar samtidigt som antalet injektioner minskar.”

Myndighetsansökan inkluderar resultat från den kliniska fas-3 studien A-LONG som utvärderade effekt, säkerhet och farmakokinetik för rFVIII Fc i pojkar och män 12 år eller äldre med svår hemofili, samt från den kliniska fas-3 studien Kids A-LONG, som utvärderade effekt och säkerhet av rFVIII Fc hos barn under 12 år med svår hemofili A.

Biogen Idec och Sobi samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Elocta/Eloctate för behandlingen av hemofili A. Sobi har en option att förvärva rätten till den slutliga utvecklingen och kommersialiseringen i Europa, Ryssland, Mellanöstern och norra Afrika. Biogen Idec leder utvecklingen, har tillverkningsrättigheter och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner där Sobi inte är närvarande.

“Sobi and Biogen Idec är fast beslutna att ta sig an de stora medicinska behoven som finns för människor med hemofili,” sa Birgitte Volck, M.D., Ph.D., senior vice president of Development & Chief Medical Officer på Sobi. “Vi samarbetar för att tillhandahålla innovativa läkemedel som har potentialen att förändra sättet på vilket hemofili A behandlas.”

---

### **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>

### **Om A-LONG studien**

A-LONG var en global öppen, multicenter fas 3 studie med 165 tidigare behandlade pojkar och män 12 år och äldre med svår hemofili A. Studien utvärderade individanpassad och veckovis profylax för att förhindra blödningar samt behandling vid behov för att behandla blödning. I den individanpassade behandlingsarmen startade samtliga deltagare med behandling två gånger i veckan. Farmakokinetiska parametrar användes sedan för att anpassa doseringsintervallen (var 3-5 dag) och dosen (25-65 IU/kg) för att hitta den lägsta möjliga faktor VIII-nivån (1-3 IU/dl eller högre om nödvändigt) för att hindra blödning. I studien var dosen i den veckovisa profylaxgruppen 65 IU/kg/vecka.

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

Kids A-LONG är den första kliniska studien som utvärderat ett hemofili läkemedel under utveckling med en förlängd halveringstid i barn under 12 år. Studien var en global, öppen, fas-3 multicenterstudie av 71 pojkar med svår hemofili A som varit med om minst 50 behandlingstillfällen med annan faktor VIII-behandling.

Individer som deltagit i någon av de kliniska A-LONG eller Kids A-LONG studierna erbjöds möjligheten att delta i ASPIRE, en klinisk uppföljningsstudie över lång tid för att utvärdera säkerhet och effekt av Eloctate/Elocta. För mer information om dessa studier, vänligen besök [www.biogenidec.com](http://www.biogenidec.com).

### **Om Elocta**

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 Elocta att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och återcirkulerar Elocta tillbaka till blodomloppet. Fc-fusionsteknologin har använts i över 15 år. Biogen Idec är det enda företag som applicerar teknologin inom hemofiliområdet.

### **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).

---

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

### **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 två projekt i sen klinisk fas inom hemofili. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och sär läkemedel 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).

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

#### **Sobi**

Media Contact:

Oskar Bosson

T: +46 70 410 71 80

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

Investor Relations contact:

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)