

## PRESSMEDDELANDE

Cambridge, Mass., USA och Stockholm, Sverige, 27 februari 2015

### **Biogen Idec och Sobi meddelar positiva effekt- och säkerhetsresultat från företagets fas-3-studie på barn av läkemedelskandidaten Alprolix® (rFIXFc) för hemofili B**

**Studien uppfyllde de primära målen och visade att profylaktisk behandling med dosering en gång i veckan resulterade i låg blödningsfrekvens hos barn. Resultaten möjliggör ansökan om marknadsföringstillstånd inom EU, samt framtida ansökningar om indikation för behandling av barn i ytterligare territorier.**

[Biogen Idec](#) (NASDAQ:BIIB) och [Swedish Orphan Biovitrum](#) AB (publ) (Sobi) (STO:SOBI) presenterade idag positiva resultat från fas-3 studien Kids B-LONG. Studien har utvärderat säkerhet, effekt och farmakokinetik av Alprolix® (rFIXFc), ett rekombinant faktor IX-läkemedel under utveckling för barn med svår hemofili B. Alprolix tolererades generellt sett väl och inga inhibitorer (antikroppar som kan motverka effekten av behandlingen) påvisades. Utvärdering av effekt visade att förebyggande (profylaktisk) behandling med Alprolix en gång i veckan resulterade i låg blödningsfrekvens. Alprolix är det enda läkemedlet med förlängd cirkulationstid som är godkänt<sup>1</sup> för behandling av hemofili B.

De positiva studieresultaten av Kids B-LONG möjliggör ansökningar om marknadsföringstillstånd av en barnindikation globalt och är ett viktigt steg för att erhålla ett marknadsgodkännande för Alprolix i Europa. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) kräver att barnstudiedata ingår i en marknadsansökan för en ny hemofilibehandling. Analys av interimresultat av Kids B-LONG-studien bidrog till att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, godkände användning av Alprolix för barn.

“Publicerade studier som påvisat samband mellan profylaktisk behandling och kliniska resultat rekommenderar förebyggande behandling för barn med svår hemofili. Dessvärre kan behandlingsscheman med frekventa intravenösa injektioner vara besvärliga att följa för många barn och deras föräldrar”, sa Aoife Brennan, M.D., Vice President of Hematology Clinical Development vid Biogen Idec. ”Data från denna studie möjliggör en marknadsansökan i Europa senare i år och stödjer att indikationen kan omfatta användning hos barn också i andra länder, med potentialen att tillgodose ett starkt behov hos barn med hemofili B.”

Kids B-LONG undersökte säkerhet, effekt och farmakokinetik (mätningar av hur länge läkemedlet finns kvar i kroppen) av Alprolix i tidigare behandlade barn under 12 års ålder med svår hemofili B. Den primära mätningen för studien var inhibitorutveckling under studiens gång. Sekundära mätningar var antalet blödningstillfällen per år, s.k. annualised bleeding rate (ABR), samt hur många doseringstillfällen som krävdes för att behandla uppkomna blödningar.

---

<sup>1</sup> Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B i USA, Kanada, Japan och Australien.

Barn som behandlades profylaktiskt med Alprolix i studien hade ett medianvärde av 1,97 för det totala antalet blödningstillfällen per år och 0 för spontana blödningstillfällen. Cirka 33 procent av deltagarna i studien hade inga blödningstillfällen alls. Totalt sett kunde 91,7 procent av blödningstillfällena kontrolleras med hjälp av en eller två injektioner Alprolix. Halveringstiden för Alprolix i studien var 66,5 timmar för barn under 6 år och 70,3 timmar för barn mellan 6 och 12 års ålder. Ytterligare analys av Kids B-LONG-studien pågår och mer detaljerade resultat kommer att presenteras vid ett framtida vetenskapligt möte.

Under studiens gång upptäcktes inga inhibitorer mot Alprolix. Alprolix tolererades generellt väl och inga fall av allvarliga allergiska reaktioner eller blodproppar rapporterades hos någon av studiedeltagarna, varav alla tidigare behandlats med andra på marknaden tillgängliga faktor IX-preparat. Inga allvarliga biverkningar ansågs av någon av prövarna vara kopplade till läkemedelsbehandlingen. En biverkan, en övergående känsla av minskad aptit i samband med injektionerna, ansågs vara kopplad till behandling med Alprolix och rapporterades för en studiedeltagare. Ingen deltagare avslutade studien till följd av biverkan efter behandling med Alprolix. Förekomsten av biverkningar under behandlingstiden var jämförbar med studiepopulationen och generellt jämförbar med unga vuxna och vuxna i den tidigare fas-3-studien B-LONG.

“Sobi och Biogen Idec är fast beslutna att utveckla behandlingsalternativ för barn och vuxna med hemofili”, sa Birgitte Volck, M.D., PhD., Senior Vice President Development och Chief Medical Officer vid Sobi. “De positiva resultaten av Kids B-LONG-studien är ett viktigt steg i utvecklingsarbetet av Alprolix. Vi ser fram emot att fullfölja arbetet med att färdigställa en marknadsansökan i Europa och att potentiellt göra detta nya behandlingsalternativ tillgängligt för personer med hemofili B.”

---

### **Om Kids B-LONG**

Kids B-LONG var en global, öppen, fas-3 multicenterstudie av 30 pojkar med svår hemofili B (faktor IX-aktivitet mindre eller lika med 2 IU/dl eller 2 procent) som varit med om minst 50 behandlingstillfällen med annan faktor IX-behandling innan de inkluderades i studien. Studien genomfördes vid 16 hemofilimottagningar i sex länder. Totalt slutförde 27 deltagare (90 procent) studien. Den genomsnittliga tiden som deltagarna deltog i studien var 49,4 veckor och 24 deltagare fick injektioner med Alprolix vid åtminstone 50 separata behandlingstillfällen.

### **Om Alprolix**

Alprolix (rekombinant FIXFc) är den första rekombinanta, långtidsverkande koagulationsfaktorterapi för hemofili B. Alprolix är godkänt av läkemedelsmyndigheten i USA för att kontrollera och förhindra blödningar, att användas vid kirurgiska ingrepp och som rutinprofylax för vuxna och barn med hemofili B. Alprolix är inte godkänd för immuntoleransinduktionsterapi, som är en behandling för personer med inhibitorer, och bör inte användas av individer med en historia av allvarliga allergiska reaktioner. Alprolix utnyttjar Fc-fusionsteknologi, där Fc-delen av IgG1 (ett vanligt förekommande protein i kroppen) är länkad till faktor IX i Alprolix och tros vara det som gör det möjligt att faktorproteinet stannar kvar i kroppen under en längre tid efter en injektion. Fc-fusionsteknologin har använts i över 15 år. Biogen Idec är det enda företag som applicerar teknologin inom hemofiliområdet.

Alprolix är också godkänd för behandling av hemofili B i Kanada, Japan och Australien.

### **Om hemofili B**

Hemofili B uppträder i ungefär ett fall på 25 000 födda pojkar per år och mer sällan hos flickor och påverkar cirka 6 300 personer i EU. Enligt en undersökning från 2012 gjord av World Federation of Hemophilia uppskattas det att 28 000 personer har diagnostiserats med hemofili B. Hemofili B beror på kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor IX-proteinet, som är väsentligt för normal koagulation. Personer med hemofili B får blödningar som kan leda till smärta, permanenta skador på leder eller livshotande blödningar. Profylaktiska injektioner av faktor IX kan temporärt återställa levringsprocessen och förhindra nya blödningar.

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

Biogen Idec och Sobi samarbetar om utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix för hemofili B. Sobi har en option att förvärva rätten till den slutliga utvecklingen och kommersialiseringen i Europa, Ryssland, Nordafrika och vissa marknader i Mellanöstern. Biogen Idec leder utvecklingen för Alprolix, har tillverkningsrättigheter och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner där Sobi inte är närvarande.

### **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 hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och särsläkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. Intäkterna uppgick 2014 till 2,6 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 600. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

### **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 och innovativa hemofilibehandlingar. För produktmärkning, pressmeddelanden och ytterligare information om företaget, vänligen besök [www.biogenidec.com](http://www.biogenidec.com).



biogen idec®

**För mer information kontakta:**

Media relations

Oskar Bosson, Head of Communications

T: +46 70 410 71 80

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

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

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

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