

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 7 februari 2018

### Dags att höja skyddet i hemofilivården: nya data från Sobi™

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) kommer att presentera nya data på den elfte årliga kongressen som arrangeras av European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD), i Madrid i Spanien 7–9 februari 2018. Dessa data tydliggör företagets långsiktiga åtagande att förbättra hemofilivården och att utöka de kliniska evidensen för Elocta® och Alprolix®. De visar också att dagens syn på skydd behöver omprövas för att standarden på hemofilivården ska kunna förbättras och människor med hemofili A och B ska få möjlighet att leva ett rikt liv utan att behöva göra avkall på säkerheten.

“Blödningskontroll och förebyggande behandling är fortfarande basen i hemofilivården, men nya data talar för att det behövs ett bredare helhetsperspektiv på skydd som aldrig äventyrar säkerheten. Detta baseras på såväl prevention och behandling av blödningar, ledhälsa och smärtfrihet, som patientens preferenser, fysiska aktivitet och totala livskvalitet”, säger Philip Wood, Head of Haemophilia på Sobi. “Evidensen kan stimulera läkare och personer som lever med hemofili att omvärdera dagens definition av skydd och utveckla vårdstandarden.”

Sobi arbetar intensivt med att ta fram både klinisk evidens och data från klinisk praxis och att överföra denna helhetssyn till verkliga livet för personer som lever med hemofili; från säkerhet och kliniska utfall, till livskvalitet och säker tillgång, och till effektivare behandlingar för personer med hemofili A och B.

I linje med detta presenterar Sobi en poster som visar den första jämförelsen av data från klinisk praxis avseende profylaktisk behandling av patienter med hemofili A, före och efter byte från konventionell rFVIII-terapi till Elocta (rFVIIIFc). Uppgifterna, som kommer från den brittiska nationella hemofilidatabasen (UK National Haemophilia Database), visar en statistiskt säkerställd reduktion av injektionsfrekvens och koagulationsfaktorkonsumtion och ger ytterligare evidens för att rFVIII-produkter med förlängd halveringstid kan minska behandlingsbördan.

Sobi presenterar också resultaten från farmakokinetiska simuleringar av olika profylaktiska behandlingar och doseringsregimer för hemofili A i Tyskland samt de ekonomiska konsekvenserna av detta. Simuleringen visar att det finns potential för att man genom att använda rFVIIIFc i stället för konventionell rFVIII-terapi kan uppnå bättre skydd mot blödningar, längre doseringsintervall, lägre konsumtion av faktorkoncentrat och minskade sjukvårdskostnader.

“Man bör alltid prioritera skyddet för personer med hemofili utan att göra avkall på säkerheten”, sade Armin Reiningger, MD, PhD, Head of Medical and Scientific Affairs, på Sobi.

Utveckling av antikroppar (inhibitorer) är en av de stora utmaningarna inom hemofilibehandling och att avlägsna dem anses idag vara den föredragna behandlingen. Sobi fortsätter tillsammans med

samarbetspartnern Bioverativ att utvärdera Eloctas möjlighet att inducera immuntolerans (ITI). Den dåliga livskvaliteten (QoL) hos patienter med allvarlig hemofili och inhibitorer, samt de QoL-förbättringar som observerats efter avlägsnande av inhibitorer genom behandling med ITI är väl dokumenterade i litteraturen. Designen av RelTlrate, den första prospektiva studien av ITI med en FVIII-produkt med förlängd halveringstid för patienter som inte svarat på tidigare ITI-försök, och studiedesignen av verITI-8, en global interventionsstudie som utvärderar rFVIIIc för initial ITI-terapi kan komma att ytterligare bidra till den ökande evidensen till stöd för en potentiell framtida användning av Elocta vid denna typ av behandling.

”Vi är angelägna om att förse människor som lever med hemofili med ytterligare vetenskapliga evidens som hjälper till att förbättra hemofilivården. Detta omfattar att ta ett större grepp för att försöka förstå hur vi kan erbjuda ett skydd utöver blödningar”, säger Armin Reininger, MD, PhD, Head of Medical and Scientific Affairs, på Sobi. ”Vi ser framför oss en värld där personer med hemofili ska kunna leva ett så vanligt liv som möjligt, utan begränsningar eller kompromisser”.

Dessa postrar har accepterats till den elfte årliga kongressen arrangerad av European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) 2018:

Sobis postrar and oberoende forskningspresentationer stöttade av Sobi

- Poster P 073: Study design for RelTlrate – A prospective study of rescue ITI with recombinant factor VIII FC (RFVIIIc) in patients who have failed previous ITI attempts  
*Königs C, Meeks S, Jain N, Lethagen S*
- Poster P195: Reduced ABR and injection frequency in haemophilia A subjects with short endogenous factor half-life on prophylaxis with rFVIIIc: A long post hoc analysis  
*Winding B, Szamosi J, Lethagen S*
- Poster P113: The effect of inhibitors and immune tolerance induction treatment on quality of life for adult patients with severe haemophilia; The CHES study  
*Kritikou P, Noone D, Myren K-J, O’ Hara*
- Poster P052: Assessment of clotting activity of recombinant FIX fusion protein in European haemophilia treatment centers  
*Willemze A, Sadeghi-Khomami A, Sörskog L, Wikén M, Lethagen S*
- Poster P131: Pharmacokinetics simulations of different treatment regimens with rFVIIIc and rFVIII: Economic impact from a German perspective  
*Myren K-J, Gozzi P, Zucca F, Lethagen S*

- Stöttad Sobi och oberoende forskning: Muntlig presentation: Within-patient comparison of treatment patterns before and after switching to rFVIII-Fc: A report from the UK National Haemophilia Database  
*Scott MJ, Xiang H, Collins PW, Hay CRM*
- Poster: How our patients view EHL products in haemophilia expectations expressed before switching (the HOPE study)  
*Khair K, O'Driscoll M, Pollard D, Harrison C, Hook S, Holland M, The HOPE study working group*

Sammanfattningarna finns tillgängliga på webbplatsen för EAHAD 2018, <http://eahadcongress.com/>.

---

### Om hemofili A och B

Hemofili (blödarsjuka) är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga hos en person är nedsatt. Hemofili A förekommer hos ungefär en av 5 000 födda pojkar per år. Hemofili B förekommer hos ungefär en av 25 000 födda pojkar per år. Båda typer av hemofili förekommer mer sällan hos kvinnor. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 180 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.<sup>i</sup>

Personer med hemofili A och B upplever blödningstillfällen som kan vara smärtsamma, ge upphov till bestående lefskador samt livshotande blödningar. Profylaktiska injektioner av faktor VIII och IX kan tillfälligt ersätta de koagulationsfaktorer som behövs för att kontrollera blödning och förhindra nya blödningar.<sup>ii</sup> The World Federation of Hemophilia rekommenderar profylaktisk behandling eftersom sådan kan förhindra blödningar och leddestruktion.<sup>iii</sup>

### Om Elocta®

Elocta® (efmoroctocog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktortterapi som utvecklats för hemofili A och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Elocta har skapats genom att fusionera faktor VIII med Fc-delen av immunoglobulin G, subgrupp 1, eller IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Elocta att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen finns kvar i kroppen (halveringstid).

Elocta är godkänt för behandling av hemofili A i EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz, och där det marknadsförs av Sobi. I USA, Japan, Kanada, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och andra länder är produkten godkänd som ELOCTATE® [Antihemophilic Factor (Recombinant), Fc Fusion Protein], och Bioverativ har marknadsföringsrättigheterna.

Som för faktorsättningspreparat i allmänhet kan allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer ske vid behandling av hemofili A. Inhibitorer har rapporterats vid behandling med Elocta/ELOCTATE inklusive hos tidigare obehandlade patienter. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i [EUs produktinformation för Elocta](#).

### Om Alprolix®

Alprolix® (eftrenonacog alfa) är en rekombinant faktortterapi som utvecklats för hemofili B och som genom Fc-fusionsteknik når en förlängd cirkulationstid i kroppen. Det har skapats genom att fusionera faktor IX med Fc-delen från immunoglobulin G subtyp 1, eller

IgG1 (ett i kroppen vanligt förekommande protein). Detta möjliggör för Alprolix att utnyttja en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen och förlänger tiden som behandlingen är kvar och har effekt i kroppen (halveringstid).

Alprolix är godkänd för behandling av hemofili B inom EU, Island, Kuwait, Liechtenstein, Norge, Saudiarabien och Schweiz, där det marknadsförs av Sobi, samt i USA, Kanada, Japan, Australien, Nya Zeeland, Brasilien och i andra länder där Bioverativ har marknadsföringsrättigheterna.

Allergiska överkänslighetsreaktioner och utveckling av inhibitorer har observerats vid behandling med Alprolix av hemofili B, inklusive i tidigare obehandlade patienter. Notera att indikationen för tidigare obehandlade patienter inte är inkluderad i den europeiska [produktinformationen](#).

### Om Sobis och Bioverativs samarbete

Sobi och Bioverativ samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Alprolix och Elocta/ELOCTATE. Sobi har rättigheterna att slutföra utvecklingen och kommersialisera Elocta och Alprolix på sina marknader (i huvudsak Europa, Nordafrika, Ryssland, samt de flesta marknader i Mellanöstern). Bioverativ har tillverkningsansvar för Elocta/ELOCTATE och Alprolix och har utvecklings- och kommersialiseringsrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom på Sobis marknader. Även om Fc-tekniken har använts under 15 år, har Sobi och Bioverativ förädlad teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Alprolix tillverkas med en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

### Om Sobi™

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Sobis uppdrag är att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar och tjänster som ger patienter ett bättre liv. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj med specialist- och sällsläkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2016 till 5.2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 760. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

### För mer information, vänligen kontakta:

Media relations  
Linda Holmström, Senior Communications Manager  
0708 73 40 95  
[linda.holmstrom@sobi.com](mailto:linda.holmstrom@sobi.com)

Investor relations  
Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations  
+1 347 224 0819  
[jorgen.winroth@sobi.com](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)

---

<sup>i</sup> World Federation of Hemophilia, Annual Global Survey 2015, published in October 2016. Available at: <http://www.wfh.org/en/data-collection>

<sup>ii</sup> World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: [http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference\\_A\\_B](http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B). Accessed on: June 17, 2016.

<sup>iii</sup> Guideline for the management of hemophilia, World Federation of Hemophilia, 2nd edition, <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1472.pdf>. Accessed on December 2015