

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 10 december 2017

Studie visar att veckovis profylaktisk behandling med Elocta® ger blödningskydd och förbättrad ledhälsa hos personer med hemofili A

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™)(STO:SOBI) och [Bioverativ Inc.](#) (NASDAQ: BIVV) publicerar idag resultaten av en ny, post hoc longitudinell analys av den pivotala fas 3-studien A-LONG samt den långsiktiga uppföljningsstudien ASPIRE. Studierna visar att profylaktisk dosering en gång i veckan med Elocta® (efmoroctocog alfa) med förlängd halveringstid, har potential att ge förbättrat skydd jämfört med vid-behovsbehandling, samt motverka s.k. target-leder (leder med historik av återkommande blödningar) och minska behandlingsbördan jämfört med mer frekventa doseringsintervall. Analysen redovisas i en posterpresentation idag på den amerikanska hematologiföreningens ASH (American Society of Hematology), 59:e årliga kongress. Elocta marknadsförs i USA som ELOCTATE® (rekombinant antihemofilifaktor Fc-fusionsprotein).

Elocta har utvecklats med Fc-fusionsteknik för att förlänga cirkulationstiden i kroppen, och dess effekt och säkerhet vid behandling av personer med hemofili A har undersökts sedan 2010. Denna nya, post hoc-analys stöder en växande mängd kliniska data som visar att profylaxbehandling med Elocta kan inverka positivt på den långsiktiga ledhälsan. Elocta är för närvarande inte godkänd för dosering en gång per vecka.

”En av utmaningarna som personer med svår hemofili A kan uppleva är täta behandlingsintervall med bara några dagars mellanrum och otillräckligt blödningskydd”, säger Maha Radhakrishnan, M.D., Senior Vice President of Medical på Bioverativ. ”Vi är engagerade i att förbättra behandlingsresultaten och att fortsätta undersöka hur ELOCTATE kan göra meningsfull skillnad för patienter genom att möjliggöra längre doseringsintervall och en fortsatt förbättrad ledhälsa.”

Profylaxbehandling med faktorterapi är den optimala behandlingen för svår hemofili A, ändå innebär denna behandlingsregim, enligt riktlinjerna från World Federation Hemophilia, traditionellt tre injektioner i veckan med konventionella faktorbaserade produkter. Med Eloctas förlängda halveringstid kan patienter förlänga doseringsintervallen upp till fem dagar vilket resulterar i mindre frekventa injektioner. Forskarna har använt data från den pivotala fas 3-studien A-LONG samt från den långsiktiga uppföljningsstudien ASPIRE som sträcker sig över en fyraårsperiod, för att undersöka individer som behandlats med sju-dagars doseringsintervall (65 IU/kg/wk) och bedöma långsiktiga utfall vad gäller årlig blödningsfrekvens (ABR), behandlingsföljsamhet och motverkande av s.k. target-leder.

I studien behandlades 43 vuxna och ungdomar (>12 år) med Elocta i ett doseringsintervall på sju dagar under en mediantid för studien på 3,1 år. Forskare har också analyserat resultaten av de individer som bibehöll ett doseringsintervall på sju dagar under hela studien (n = 19).

För den grupp individer som erhållit veckovis dosering under någon period av studien och som före studien erhållit vid-behovsbehandling (n=32), resulterade övergången till veckovis profylaxdosering i en förändring av medianvärdet för ABR (IQR) på -23,7 (-35,8; -12,8). För de patienter som stod på en veckovis doseringsregim under hela studien (n=19) minskade medianvärdet för ABR (IQR) till 1,7 (0,5; 6,7) under studien, jämfört med medianvärde för ABR (IQR) 29 (18; 45) före studien då de erhöll vid-behovsbehandling. Patienter upplevde skydd mot akuta blödningar. Medianvärdet för akuta ABR var 1,2 (0,2; 2,8) för försökspersoner på veckovis dosering under någon period av studien och 0,7 (0; 1,6) för de som alltid stått på veckovis dosering. Skyddet var också bra vad gäller akuta ledblödningar, där medianvärdet för ABR (IQR) var 0,8 (0; 2,5) hos individer som under någon period av studien stått på veckovis dosering, respektive 0,2 (0; 1,0) för individer som alltid stått på veckovis dosering.

Behandlingsföljsamheten var mycket hög för alla individer då de stod på veckovis doseringsregim (medianlängd 3,1 år), och majoriteten av de individer som valt att övergå till ett sju-dagars doseringsintervall med Elocta vid någon tidpunkt under studien höll fast vid detta doseringsintervall. Hundra procent av alla utvärderingsbara s.k. target-leder, både i gruppen som under någon period stått på veckovis dosering och i gruppen som alltid stått på veckovis dosering, blev problemfria under studieperioden. Studieresultaten tyder på att dosering en gång i veckan kan vara en rimlig profylaxregim för patienter som erhåller vid-behovsbehandling, men som skulle föredra fördelarna med profylax och bättre blödningsskydd, med minimal behandlingsbörda.

”Tillsammans med Bioverativ har vi genom våra behandlingar och pågående forskning länge engagerat oss i att förbättra vården för personer med hemofili”, sade Armin Reininger, M.D., Ph.D., Head of Medical and Scientific Affairs på Sobi. ”Dessa data visar att Elocta har potential att göra skillnad för patienter genom att möjliggöra ett förlängt doseringsintervall baserat på deras behov, en förbättrad ledhälsa samt möjligheten att minska bördan av den kroniska behandling som patienter med hemofili genomgår.”

Om ASPIRE

ASPIRE är en öppen, icke-randomiserad, flerårig uppföljningsstudie för personer som avslutat de pivotala fas 3-studierna A-LONG eller Kids A-Long. I studien deltog 211 män eller pojkar, varav 150 (98 procent) av har fullföljt A-LONG och 61 (91 procent) fullföljt Kids A-LONG. Det primära effektmåttet var utveckling av antikroppar. Sekundära effektmått inkluderade det årliga antalet akuta blödningar per deltagare, behandlingsdagar med Elocta® samt deltagarens bedömning av hur behandlingen svarat vid akut blödning.

Om hemofili A

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. Enligt World Federation of Hemophilia beräknas för närvarande 150 000 personer runt om i världen vara diagnostiserade med hemofili.ⁱ

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

Om Elocta®

Elocta® (efmoroctocog alfa) är en rekombinant koagulationsfaktorterapi 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. Även om Fc-tekniken under 15 år har använts inom andra terapiområden, har Sobi och Bioverativ förädlat teknologin och är först med att tillämpa den inom hemofili. Elocta tillverkas i en human cellinje, i en miljö fri från tillsatser från djur eller människa.

Elocta är godkänt för behandling av hemofili A i EU, Island, Liechtenstein, Norge, Schweiz, Kuwait och Saudi Arabien 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 faktorerättningspreparat 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. För mer information, vänligen se komplett [amerikansk förskrivningsinformation](#) för ELOCTATE. Notera att tidigare obehandlade patienter inte är inkluderade i [Us produktinformation för Elocta](#).

Om Sobis och Bioverativs samarbete

Sobi och Bioverativ samarbetar kring utvecklingen och kommersialiseringen av Elocta®/ELOCTATE® och Alprolix. 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 kommersialiseringrättigheter i Nordamerika och alla andra regioner i världen, förutom på Sobis marknader.

Om Bioverativ

Bioverativ är ett globalt företag inriktat på biologiska läkemedel som söker att förändra livet för personer med hemofili och andra sällsynta blödningsrubbningar genom forskning i världsklass, utveckling och kommersialisering av innovativa behandlingar. Bioverativ lanserades 2017 efter att ha knoppats av från Biogen Inc. och företaget bygger på en stark historia av vetenskaplig innovation och inriktar sig på att arbeta aktivt för människor med blödningsrubbningar. Bolagets mission är att nå framsteg för patienter där de som mest behöver det. Bolagets hemofilibehandlingar representerade vid lansering de första större framstegen inom behandlingen av hemofili på över två årtionden. För mer information, besök <http://www.bioverativ.com> eller följ @bioverativ på Twitter.

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 sällsynta läkemedel 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.

För mer information, vänligen kontakta:

Media relations

Linda Holmström, Senior Communications Manager
0708 73 40 95

linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations
+1 347 224 0819

jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ World Federation of Hemophilia, Annual Global Survey 2016, published in October 2017. Available at: <http://www.wfh.org/en/data-collection>

ⁱⁱ World Federation of Hemophilia. About Bleeding Disorders – Frequently Asked Questions. Available at: http://www.wfh.org/en/page.aspx?pid=637#Difference_A_B. Accessed on: June 17, 2016.

ⁱⁱⁱ 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