

PRESSMEDDELANDE

CAMBRIDGE, Mass., US och Stockholm, 5 december 2013

Förebyggande injektioner av Alprolix™ motverkar effektivt blödningar hos patienter med hemofili B visar ny data som publiceras i den vetenskapliga tidskriften New England Journal of Medicine

B-LONG studien visade att injektion av läkemedelskandidaten en gång varje eller varannan vecka förebyggde eller minskade antalet blödningar.

Biogen Idec (NASDAQ:BIIB) och Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi) (STO:SOBI) meddelade idag publicerandet av detaljerade resultat från företagets fas-3 studie av den långtidsverkande rekombinanta faktor IX-produktkandidaten, rFIXFc (Alprolix) för hemofili B. Studien publiceras först i internetupplagan av den vetenskapliga tidskriften *The New England Journal of Medicine* (NEJM), för att sedan finnas med i 12 decembernumret av den tryckta versionen av tidskriften.

Studien av rFIXFc visade att personer med svår hemofili B på ett säkert och effektivt sätt kan förhindra eller minska antalet blödningar genom förebyggande injektioner varje eller varannan vecka. rFIXFc är den första långtidsverkande läkemedelskandidaten för hemofili B som har genomgått en fas 3- studie och har potential att bli det första viktiga framsteget i behandling av hemofili B på mer än 16 år.

Studien, kallad B-LONG, är den största avslutade kliniska fas 3-studien i hemofili B någonsin. Den undersökte effekten av flera behandlingsalternativ med rFIXFc inklusive förebyggande (en gång per vecka eller längre doseringsintervall), vid behovs behandling av blödning, och behandling i samband med operationer (perioperativ behandling). Resultaten av B-LONG ligger till grund för registreringsansökningar gällande rFIXFc, som för närvarande är föremål för granskning i flera länder, däribland USA, Kanada, Australien och Japan.

"Idag är det många personer med hemofili B som inte använder sig av förebyggande behandling. Möjligtvis kan den täta injektionsfrekvensen i samband med nuvarande behandlingsalternativ vara orsak till detta", säger Marilyn Manco-Johnson, MD, professor i pediatrik vid University of Colorado och chef vid Hemophilia and Thrombosis Center vid University of Colorado och Children's Hospital, Colorado. "The National Hemophilia Foundation rekommenderar förebyggande behandling för personer med svår hemofili och studier visar att sådan behandling minskar blödningar och medföljande risker. Jag hoppas att de långtidsverkande behandlingar som just nu utvecklas, till exempel rFIXFc, kan minska bördan av förebyggande behandling för personer med hemofili B och uppmuntra till en förändring."

Hemofili B är en sällsynt, kronisk, ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt, vilket kan leda till långdragna blödningar. Nuvarande behandlingsformer kräver förebyggande injektioner två gånger

PRESSMEDDELANDE

CAMBRIDGE, Mass., US och Stockholm, 5 december 2013

i veckan eller mer. Täta förebyggande injektioner kan utgöra en börda för personer med hemofili och kan minska viljan att använda sig av denna form av behandling. rFIXFc har en förlängd cirkulationstid i blodet och använder sig av en teknik som kallas Fc fusion. B-LONG studien visade att intervallerna mellan förebyggande injektioner förlängdes med rFIXFc, så att injektioner bara behövdes mellan en gång i veckan upp till en gång varannan vecka. Om läkemedelskandidaten godkänns, kan rFIXFc göra det möjligt för personer med svår hemofili B att ta färre förebyggande injektioner än vad som är möjligt med nuvarande tillgängliga terapiformer.

"Många av oss på Biogen Idec känner personer som har hemofili och förstår bördan av frekventa injektioner", säger Glenn Pierce, MD, Ph.D., Senior Vice President för Global Medical Affairs och medicinsk chef för Biogen Idec's hemofiliterapiområde. "Om det godkänns, kommer långtidsverkande behandling med rFIXFc ha potential att förändra behandlingen av Hemofili B och lösa ett kritiskt behov hos patienterna."

B-LONG studien

B-LONG var en global, öppen, multicenter, fas-3-studie som undersökte effekt, säkerhet och farmakokinetik av rFIXFc i 123 manliga hemofilipatienter, 12 år och äldre. Studien omfattade 50 behandlingscentra för hemofili i 17 länder över sex kontinenter.

B-LONG studien undersökte rFIXFc via fyra olika behandlingsscheman:

- Veckovis förebyggande dosering (arm 1)
- Individanpassade intervaller med förebyggande dosering – med start var 10:e dag (arm 2)
- Vid behovsbehandling för att stoppa blödningar (arm 3)
- Perioperativ behandling (arm 4)

Dosering (arm 1) och intervaller (arm 2) justerades under studiens gång för att bibehålla avsedda faktor IX-nivåer i syfte att förebygga blödningar.

Sett över studiens gång var årliga blödningsfrekvensen (annualized bleeding rates, ABR) eller förväntade blödningstillfällen per år 3,0 för veckovis förebyggande behandling (arm 1) och 1,4 för individanpassad förebyggande behandling (arm 2), jämfört med 17,7 för den grupp som fick vid behovsbehandling av blödningar (arm 3). Doseringsintervallet för individanpassad förebyggande behandling (arm 2) var 12,5 dagar. Blödningstillfällen för alla studiedeltagare dokumenterades och fler än 90 procent av alla blödningstillfällen

PRESSMEDDELANDE

CAMBRIDGE, Mass., US och Stockholm, 5 december 2013

kunde stoppas med en enda rFIXFc-injektion. rFIXFc undersöktes som perioperativ behandling hos 12 deltagare som genomgick 14 större operationer. Behandlande läkare bedömde att patienterna svarade "utmärkt" eller "bra" i 100 procent av fallen med rFIXFc.

Inga studiedeltagare utvecklade inhibitorer (antikroppar som blockerar behandlingen) och det fanns inga rapporter om blodproppar eller allvarliga allergiska reaktioner. Registrerade biverkningar motsvarade de som man förväntades se i en normal hemofilipopulation. De vanligast förekommande händelserna (incidens ≥ 5 procent) var förkylning, influensa, ledvärk, övre luftvägsinfektion, högt blodtryck och huvudvärk, varav ingen bedömdes vara relaterande till behandlingen. En deltagare upplevde en enskild allvarlig biverkan som sannolikt kan relateras till behandlingen med rFIXFc. Deltagaren som hade en historia av hematuri (blod i urinen) bildade ett obstruerande blodkoagel i urinvägarna. Han fortsatte rFIXFc-behandlingen och händelsen kunde avhjälpas med medicinsk behandling.

Publiceringen av B-LONG-studien i New England Journal of Medicine är en viktig milstolpe som kommer att bidra till att flytta fram medicinsk forskning inom hemofilibehandling. Dessa data stödjer potentialen för rFIXFc som ett värdefullt nytt behandlingsalternativ för personer med Hemofili B genom att tillmötesgå behovet av en långtidverkande behandling för denna grupp, säger Birgitte Volck, M.D., Ph.D., senior vice president development och chief medical officer vid Sobi.

- - -

Om ALPROLIX och teknologiplattformen för Fc Fusion

ALPROLIX (rekombinant FIXFc) är en rekombinant, långtidsverkande koagulationsfaktorterapi för hemofili B under utveckling i en klinisk prövningsfas. ALPROLIX utnyttjar Fc-fusionsteknologi, som använder sig av en naturligt förekommande process som fördröjer nedbrytningen av IgG1 (ett vanligt förekommande protein i kroppen) och återcirkulerar det tillbaka till blodomloppet. Fc-delen av IgG1 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, vilket kan förlänga doseringsintervallet vid profylaktisk behandling. Fc-fusionsteknologin har använts i över 15 år. Biogen Idec är det enda företag som applicerar teknologin inom hemofiliområdet.

Om hemofili B

Hemofili (blödarsjuka) B är en sällsynt ärftlig rubbning som gör att blodets koaguleringsförmåga är nedsatt. Hemofili B uppträder i ungefär ett fall på 25 000 födda pojkar per år och beror på kraftigt reducerade nivåer, eller fullständig avsaknad av faktor IX-proteinet. Personer med hemofili B behöver därför injektioner av faktor IX för att återställa levringsprocessen och förhindra upprepade

Swedish Orphan Biovitrum AB

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

Phone: +46 697 20 00 Fax +46 697 20 00 www.sobi.com

PRESSMEDDELANDE

CAMBRIDGE, Mass., US och Stockholm, 5 december 2013

blödningar, som annars kan leda till smärta, permanenta skador på leder och livshotande blödningar. Den medicinska rådgivande kommittéen "The Medical and Scientific Advisory Council" för den amerikanska patientföreningen "The National Hemophilia Foundation" rekommenderar profylax som den optimala terapin för personer med hemofili B. Profylaktisk behandling av hemofili B kräver idag upp till 3 injektioner per vecka för att upprätthålla en tillräcklig cirkulerande nivå av koagulationsfaktor.

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 rätt att välja att ha den slutliga utvecklingen och kommersialiseringen i Europa, Ryssland, Mellanöstern och norra Afrika.

Om Sobi

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen är främst inriktad på inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar samt tre projekt i sen klinisk fas inom hemofili och neonatologi. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och särlläkemedel på uppdrag av olika partnerföretag. Intäkterna uppgick 2012 till 1,9 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 500. Aktien (STO: SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på 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 företaget genererar mer än 5 miljarder dollar i årliga intäkter. För produktmärkning, pressmeddelanden och ytterligare information om företaget, vänligen besök www.biogenidec.com.

För mer information – inte för publicering

Sobi:

Media relations

Oskar Bosson, Head of Communications

T: +46 70 410 71 80

E: 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

E: jorgen.winroth@sobi.com

Biogen Idec:

Media contact

Todd Cooper

T: +1-781-464-3260

E: public.affairs@biogenidec.com

Investor relations

Ben Strain

T: +1-781-464-2442

E: IR@biogenidec.com

Swedish Orphan Biovitrum AB

Postal address SE-112 76 Stockholm, Sweden

Phone: +46 697 20 00 Fax +46 697 20 00 www.sobi.com