**Emofilia B: Sobi e Biogen Idec annunciano risultati positivi di efficacia e sicurezza dello studio pediatrico di Fase III condotto su rFIXFc**

* *Lo studio soddisfa l’endpoint primario, dimostrando il raggiungimento di bassi tassi di sanguinamento con una somministrazione settimanale a scopo profilattico nei bambini affetti da emofilia B;*
* *I risultati supportano la presentazione della domanda di approvazione Europea e future richieste di indicazione pediatrica.*

Biogen Idec e Sobi annunciano i risultati positivi dello Studio clinico di Fase III Kids B-LONG, che ha valutato sicurezza, efficacia e farmacocinetica di rFIXFc (proteina di fusione, costituita dal fattore IX ricombinante legato al dominio Fc) in bambini al di sotto dei 12 anni con emofilia B grave. Il farmaco è generalmente ben tollerato e non sono stati rilevati inibitori (anticorpi neutralizzanti che possono interferire con l’attività della terapia in corso) durante lo studio. In questo studio, la profilassi con somministrazione settimanale di rFIXFc, l’unica terapia ad azione prolungata approvata per il trattamento dell’emofilia B, ha consentito di raggiungere bassi tassi di sanguinamento.

I buoni risultati dello studio Kids B-LONG supportano le richieste per l’indicazione pediatrica in diverse aree geografiche e rappresentano un passo importante verso il raggiungimento dell’autorizzazione all’immissione in commercio di rFIXFc in Europa. L’Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) richiede, infatti, che la domanda iniziale di autorizzazione all’immissione in commercio di un nuovo trattamento per l’emofilia includa anche dati clinici pediatrici. I risultati preliminari dello studio Kids B-LONG hanno contribuito a sostenere l’approvazione statunitense del farmaco in pazienti pediatrici.

*“Secondo studi clinici pubblicati, la terapia in regime di profilassi è raccomandata in bambini con emofilia grave poiché associata a comprovati benefici clinici. Tuttavia, la necessità di somministrazioni frequenti può risultare problematica, sia per i piccoli pazienti, sia per i loro caregiver* - afferma Aoife Brennan, M.D, Vice President of hematology clinical development presso Biogen Idec - *Questi dati renderanno possibile la domanda di registrazione in Europa entro la fine dell’anno, così come saranno di supporto all’indicazione pediatrica in altri Paesi, offrendo la possibilità di rispondere ad una necessità critica per i bambini affetti da emofilia B.”*

Lo studio Kids B-LONG ha esaminato sicurezza, efficacia e farmacocinetica di rFIXFc in bambini al di sotto dei 12 anni con emofilia B, precedentemente trattati. L’endpoint primario dello studio era quello di valutare l’insorgenza di anticorpi inibitori. L’endpoint secondario includeva il numero di sanguinamenti totali e spontanei su base annua (“annualized bleeding rates” o ABR), che consiste nella stima del numero di episodi annui di sanguinamento), e di infusioni necessarie impiegate per trattare tali episodi.

Nello studio, i bambini in profilassi con rFIXFc, hanno presentato un valore mediano globale di ABR di 1,97. Il valore mediano di ABR per i sanguinamenti spontanei alle articolazioni è risultato pari a zero. Circa il 33% dei partecipanti allo studio non ha avuto alcun episodio di sanguinamento. Nel complesso, il 91,7% degli episodi di sanguinamento sono stati tenuti sotto controllo con una o due infusioni del farmaco. L’emivita complessiva di rFIXFc durante lo studio è risultata di 66,6 ore per i bambini al di sotto dei sei anni, e di 70,3 ore per i bambini dai sei ai dodici anni di età.

Ulteriori analisi dello studio Kids B-LONG sono attualmente in corso e i dati saranno presentati in occasione di uno dei prossimi appuntamenti scientifici.

Non sono stati rilevati anticorpi inibitori contro rFIXFc durante lo studio e il farmaco è risultato generalmente ben tollerato, così come non sono stati riportati casi di reazioni allergiche gravi o eventi trombotici vascolari nei pazienti, che erano stati tutti trattati preventivamente con altri farmaci disponibili di questo tipo (fattore IX della coagulazione). Nessun evento avverso grave è stato segnalato dagli sperimentatori in relazione all’utilizzo di rFIXFc, tranne una paziente che ha riportato riduzione dell’appetito, correlata al trattamento. Nessuno ha interrotto lo studio a causa di un evento avverso comparso dopo aver ricevuto il farmaco. Lo schema generale di distribuzione degli eventi avversi correlati alla terapia è risultato in linea con la popolazione trattata e generalmente coerente con i risultati ottenuti in pazienti adolescenti ed adulti nello studio di Fase III B-LONG.

“Sobi e Biogen Idec sono impegnate nel rendere disponibili nuove opzioni terapeutiche per adulti e bambini con emofilia” dichiara Birgitte Volck, M.D., Ph.D., Senior Vice President of development e Chief Medical Officer presso Sobi. “Il completamento dello studio Kids B-LONG segna un importante successo nel programma di sviluppo di rFIXFc. Siamo entusiasti di affrontare le prossime fasi di preparazione per la sottomissione della domanda regolatoria in Europa e di progredire nell’offerta di soluzioni terapeutiche per persone affette da emofilia B.”

---

**Kids B-LONG**

Lo studio Kids B-LONG è uno studio globale, in aperto, multicentrico di Fase III, che ha coinvolto 30 ragazzi con emofilia B grave (attività del fattore IX della coagulazione uguale o inferiore a 2 IU per dL, o 2%) con almeno 50 giorni di precedente esposizione a terapie con il fattore IX. Lo studio è stato condotto in 16 centri per il trattamento dell’emofilia in sei diversi Paesi. Nel complesso, 27 partecipanti (il 90%) hanno completato lo studio. Il tempo mediano per paziente speso nel trial è stato di 49,4 settimane, e 24 partecipanti hanno ricevuto il trattamento per infusione con rFIXFc in almeno 50 giorni non consecutivi (giorni di esposizione).

**rFIXFc**

rFIXFc è l’unica terapia ricombinante del fattore IX della coagulazione approvata a lunga durata d’azione. Negli Stati Uniti è indicata per il controllo e la prevenzione degli eventi emorragici, nella gestione dell’assistenza perioperatoria (chirurgica) e nella profilassi di routine in adulti e bambini con emofilia B. rFIXFc non è indicato nella terapia di induzione di immunotolleranza, che è un trattamento per emofilici con inibitori, e non deve essere impiegato in pazienti con una nota storia di reazioni allergiche al farmaco o a qualsiasi altro elemento presente nel composto. rFIXFc è stato sviluppato attraverso la fusione del fattore IX alla porzione Fc della immunoglobulina G sottoclasse 1, o IgG1 (una proteina comunemente reperibile nell’organismo). Si pensa che questo permetta al farmaco di agire naturalmente, affinché la terapia rimanga il più a lungo possibile nell’organismo. Sebbene la tecnololgia di fusione Fc sia utilizzata da oltre 15 anni, Biogen Idec è l’unica azienda ad applicarla nell’ambito dell’emofilia. Le reazioni avverse comunemente osservate (con un’incidenza maggiore o uguale all’1%) nello studio B-LONG sono state mal di testa e parestesia orale (una sensazione anomala nella bocca). rFIXFc è approvato per il trattamento dell’emofilia B anche in Canada, Giappone e Australia.

**Emofilia B**

L’emofilia B ricorre in circa un maschio ogni 25.000 nati ogni anno, e più raramente nelle femmine, riguardando circa 4.000 persone negli Stati Uniti. La survey condotta dalla World Federation of Hemophilia nel 2012 nel mondo ha stimato che circa 28.000 persone attualmente abbiano ricevuto una diagnosi di emofilia B nel mondo. Sostanzialmente la malattia consiste nella riduzione o nella mancanza di attività del fattore IX della coagulazione, necessaria per la normale coagulazione del sangue. Le persone affette da emofilia B vanno incontro a episodi di sanguinamento che causano dolore, danni irreversibili alle articolazioni ed emorragie potenzialmente letali. La profilassi con infusioni del fattore IX della coagulazione sostituisce temporaneamente i fattori della coagulazione necessari a tenere sotto controllo il sanguinamento e a prevenirne nuovi episodi.

**La collaborazione tra Biogen Idec e Sobi**

Biogen Idec e Sobi collaborano allo sviluppo e commercializzazione di rFIXFc per il trattamento dell’emofilia B. Sobi ha un diritto di esclusività sullo sviluppo finale e sulla commercializzazione del farmaco in alcuni territori di sua competenza (Europa, Nord Africa, Russia e alcuni mercati dei Paesi Medio-Orientali). Biogen Idec detiene lo sviluppo di rFIXFc, i diritti di produzione, e possiede diritti di commercializzazione in Nord America e in tutti le aree del mondo escluse quelle di pertinenza di Sobi.

**Sobi**

Sobi è una azienda multinazionale farmaceutica che dedica la propria attività alle malattie rare. La mission aziendale è sviluppare e rendere disponibili terapie e servizi innovativi che migliorino la vita dei pazienti. Le opzioni terapeutiche offerte sono principalmente focalizzate sull’emofilia, le malattie infiammatorie e le malattie genetiche. Sobi commercializza, inoltre, farmaci per malattie specialistiche e rare per diverse aziende partner in Europa, Medio-Oriente, Nordafrica e Russia. Sobi è azienda pioniera nell’ambito delle biotecnologie, con capacità riconosciute a livello mondiale nella biochimica proteica e nella produzione di farmaci biologici.

Nel 2014 Sobi ha raggiunto un fatturato totale di 380 milioni di dollari (USD) e circa 600 dipendenti. Sobi è quotata al NASDAQ OMX Stockholm. Per maggiori informazioni: www.sobi.com.

**Per ulteriori informazioni:**

Leonardo Calzetti, General Manager Italy, Greece & Malta Oskar Bosson, Head of Communications

T: +39 0521 19111 T: +46 70 410 71 80

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