**L’Agenzia Europea del Farmaco (EMA) ha accettato la richiesta di autorizzazione per l'immissione in commercio di rFIXFc e iniziato il processo di revisione**

L’Agenzia Europea del Farmaco (EMA) ha accettato la richiesta presentata da Biogen, partner di Sobi, per l’autorizzazione all'immissione in commercio (Marketing Authorisation Application - MAA) di rFIXFc, proteina ricombinante di fusione costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc. Il prodotto, candidato per il trattamento dell’emofilia B, sarà ora sottoposto al processo di revisione per l’autorizzazione alla sua immissione in commercio.

Il processo di revisione prevede l’analisi dei risultati dei due studi clinici di fase 3 che hanno valutato l'efficacia, la sicurezza e la farmacocinetica di rFIXFc per il trattamento dell'emofilia B, in adulti, adolescenti e bambini al di sotto dei 12 anni già precedentemente trattati con altri farmaci.

“Si tratta di una tappa importante verso il nostro obiettivo di offrire terapie innovative che migliorino le prospettive di cura per le persone colpite da emofilia in Italia” ha affermato Alessandra Antonello, Medical Director di Sobi Italia.

rFIXFc è un fattore IX della coagulazione, ricombinante, appartenente alla categoria dei long-acting, sviluppato per il trattamento dell’emofilia B. È l'unica terapia per l'emofilia B, presente oggi sul mercato, con un prolungato tempo di permanenza in circolo.

Biogen e Sobi collaborano per lo sviluppo e la commercializzazione di rFIXFc per l’emofilia B. Sobi ha il diritto di prelazione sullo sviluppo finale del prodotto e sulla sua commercializzazione in Europa, Russia e in alcuni paesi del Medio Oriente e del Nord Africa.

---

**L’emofilia B**

L'emofilia B è una malattia cronica causata dalla ridotta o assente attività del fattore IX, necessario per la normale coagulazione del sangue. Le persone colpite da emofilia B soffrono di episodi emorragici che causano dolore, danni articolari irreversibili ed emorragie anche mortali. Infusioni profilattiche di fattore IX possono sostituire temporaneamente il fattore di coagulazione necessario per controllare le emorragie e prevenire nuovi episodi di sanguinamento. Secondo lo European Haemophilia Consortium, l’incidenza stimata dell’emofilia B nel mondo è pari a 1 su 30.000 persone. In Italia, invece, si stima che siano affette da emofilia B circa 750 persone. Da un sondaggio globale della Federazione Mondiale dell’Emofilia si stima che nel mondo, dal 2013 a oggi, siano stati diagnosticati circa 28.430 nuovi casi di emofilia B.

**A proposito dello studio clinico B-LONG**

B-LONG è uno studio in aperto di fase 3 condotto a livello internazionale, che ha valutato l'efficacia, la sicurezza e la farmacocinetica (variazione della concentrazione del farmaco nell’organismo) di rFIXFc in 123 maschi, dai 12 anni in su, affetti da gravi forme di emofilia B e con una storia di almeno 100 giorni di terapia con i sostituti del fattore IX attualmente disponibili. Lo studio ha coinvolto 50 centri di trattamento per emofilici in 17 paesi, inclusa l’Italia, in sei continenti. È stato, quindi, esaminato l'effetto di rFIXFc in profilassi, come trattamento episodico (on demand) e durante l'intervento chirurgico (gestione perioperatoria). Nella fase iniziale del regime di profilassi, le dosi sono state fissate a 50 IU/kg una volta alla settimana o a 100 IU/kg ogni 10 giorni. La dose o l’intervallo di tempo tra un’infusione e l’altra potevano essere variate a seconda delle indicazioni cliniche.

**A proposito dello studio clinico Kids B-LONG**

Lo studio Kids B-LONG è uno studio internazionale, in aperto, multicentrico di Fase 3, che ha coinvolto 30 ragazzi con emofilia B grave con almeno 50 precedenti esposizioni a terapie con il fattore IX. Lo studio è stato condotto in 16 centri per il trattamento dell’emofilia in sei diversi Paesi. Lo studio si propone di valutare l'efficacia, la sicurezza e la farmacocinetica di rFIXFc. La dose di profilassi settimanale è stata fissata a 50-60 IU/kg, con possibilità di aggiustamento della dose o dell’intervallo di tempo tra un’infusione e l’altra in funzione delle condizioni del paziente.

**rFIXFc**

rFIXFc è un fattore IX della coagulazione, ricombinante, appartenente alla categoria dei long-acting, sviluppato per il trattamento dell’emofilia B. Il farmaco è stato approvato per il trattamento dell'emofilia B negli Stati Uniti, in Canada, Australia e in Giappone, dove è noto con il nome di Antihemophilic Factor IX (Recombinant) Fc Fusion Protein. rFIXFc è stato sviluppato usando la tecnologia di fusione del fattore IX con la porzione Fc delle immunoglobuline IgG1 (proteine comunemente presenti nell’organismo). Si ritiene che questa tecnica permetta al rFIXFc di ulilizzare un naturale processo fisiologico per prolungare il tempo di permanenza in circolo. Il processo Fc Fusion è utilizzato da più di 15 anni e Biogen e Sobi sono le uniche aziende ad averlo applicato nell’emofilia.

**La collaborazione tra Biogen e Sobi**

Biogen e Sobi collaborano per lo sviluppo e la commercializzazione di rFVIIIFc per l'emofilia A e rFIXFc per il trattamento dell'emofilia B. Sobi detiene i diritti per lo sviluppo e la commercializzazione di rFVIIIFc in Europa, Nord Africa, Russia e in alcuni mercati del Medio Oriente, così come il diritto di prelazione sullo sviluppo finale e la commercializzazione di rFIXFc in Europa, Russia e in alcuni paesi del Medio Oriente e del Nord Africa. Biogen, invece, detiene i diritti di produzione e di commercializzazione di rFVIIIFc e rFIXFc in Nord America e in tutte le altre regioni del mondo, esclusi i territori Sobi.

**Sobi Italia**

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 metaboliche ereditarie. 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 di Stoccolma. Per maggiori informazioni: [www.sobi-italia.it](http://www.sobi-italia.it).

**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)