**Sobi e Biogen hanno ricevuto il parere favorevole del CHMP per l’approvazione di rFVIIIFc nel trattamento dell’emofilia A**

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi), con il partner Biogen, hanno ricevuto il parere favorevole dal comitato dell’European Medicines Agency (EMA) per i prodotti medicinali per uso umano (CHMP: Committee for Medicinal Products for Human Use) per la autorizzazione all’immissione in commercio di rFVIIIFc.

rFVIIIFc è un fattore VIII ricombinante legato al dominio Fc dell'IgG1 umana, candidato al trattamento dell’emofilia A.

Il parere favorevole si è basato sui risultati dello studio clinico di fase 3 A-LONG, che ha esaminato l’efficacia, la sicurezza e il profilo farmacocinetico di rFVIIIFc in soggetti maschi con emofilia A grave di età superiore ai 12 anni, già trattatati in precedenza, e dello studio clinico di fase 3 Kids A-LONG, che ha valutato l’efficacia e la sicurezza di rFVIIIFc in bambini sotto i 12 anni di età con emofilia A già precedentemente trattati.

Il parere favorevole è ora passato alla Commissione Europea (EC: European Commission) per l’autorizzazione all’immissione in commercio del prodotto nell’ UE.

rFVIIIFc, è approvato per il trattamento dell’emofilia A negli Stati Uniti d’America, Canada, Australia, Nuova Zelanda e Giappone.

Sobi e Biogen collaborano nello sviluppo e nella commercializzazione di rFVIIIIFc. Nel 2014, Sobi ha esercitato i diritti di *opt-in* per acquisire il pieno diritto allo sviluppo e alla commercializzazione del prodotto nel proprio territorio (essenzialmente Europa, Nord Africa, Russia e alcuni paesi del Medio Oriente). Biogen guida lo sviluppo clinico di rFVIIIFc, detiene i diritti di produzione così come i diritti di commercializzazione in Nord America e in tutti gli altri paesi, ad esclusione di quelli facenti parte del territorio di Sobi.

**L’emofilia A**

L’emofilia A è una malattia genetica rara e cronica che determina problemi di coagulazione del sangue dovuti all’assenza o alla produzione ridotta di una proteina: il fattore della coagulazione VIII. Chi soffre di emofilia è soggetto a sanguinamenti ricorrenti ed estesi, tra cui emartri, che causano dolore e provocano danni articolari irreversibili. Alcuni di questi episodi emorragici possono mettere a repentaglio la vita del paziente. Secondo le stime della *World Federation of Hemophilia*, nel mondo ci sono 142.000 persone che soffrono di emofilia A.

In italia si stima che circa 3.700 persone siano affette da emofilia A.

**Lo studio A-LONG**

A-LONG è uno studio di fase 3, in aperto, multicentrico, condotto in 165 pazienti maschi, dai 12 anni in su, con emofilia A grave e già precedentemente trattati. Lo studio ha valutato la profilassi personalizzata e settimanale nel ridurre e prevenire i sanguinamenti, ed il dosaggio al bisogno per il trattamento degli episodi emorragici. Nel braccio di profilassi personalizzata, tutti i partecipanti allo studio hanno iniziato con un regime profilattico 2 volte a settimana. I parametri farmacocinetici sono stati utilizzati per aggiustare l’intervallo di tempo tra un’infusione e l’altra (ogni 3-5 giorni) o la dose (da 25 a 65 IU/kg) richiesta per mantenere un livello minimo di fattore VIII pari a 1-3 UI/dL o superiore, al fine di prevenire e controllare i tassi di sanguinamento. Nel braccio di profilassi settimanale la dose è stata fissata a 65 IU/ kg/settimana.

**Lo studio Kids A-LONG**

Lo studio Kids A-LONG è il primo studio clinico nell’emofilia volto a valutare una terapia sperimentale ad emivita prolungata in bambini al di sotto dei 12 anni di età. Lo studio in aperto di fase 3 condotto a livello internazionale, ha coinvolto 71 pazienti maschi con emofilia A grave, con almeno 50 precedenti esposizioni a terapie con il fattore VIII.

I partecipanti agli studi A-LONG e Kids A-LONG potevano essere arruolati nell’ASPIRE, uno studio in aperto, non-randomizzato, pluriennale, di estensione, per valutare l’efficacia e la sicurezza a lungo termine di rFVIIIFc. Per ulteriori informazioni sulla società, visitare il sito [www.biogen.com](http://www.biogen.com).

Le reazioni avverse al farmaco comunemente riportate negli studi clinici (> / = 1% dei soggetti) sono state artralgia, malessere, mialgia, cefalea e rash. Lo sviluppo di anticorpi neutralizzanti (inibitori) il fattore VIII, si possono verificare in seguito alla somministrazione di rFVIIFc.

**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, Nord Africa 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-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 E: oskar.bosson@sobi.com