**Parere positivo del CHMP per rFIXFc di Sobi e Biogen per il trattamento dell'emofilia B**

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi ™) (STO: Sobi) con il partner Biogen (NASDAQ: BIIB), hanno ricevuto il parere positivo del CHMP (*Committee for Medicinal Products for Human Use*) dell’Agenzia europea per i medicinali (EMA: *European Medicines Agency*) per l’autorizzazione all’immissione in commercio di rFIXFc, proteina di fusione ricombinante ad emivita prolungata costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell'IgG1 umana, per il trattamento dell'emofilia B. Se approvato, rFIXFc, sarebbe tra le prime terapie nell’Unione europea (UE) ad offrire alle persone affette da emofilia B una protezione prolungata contro gli episodi di sanguinamento in regime di profilassi.

“Il parere positivo del CHMP è un’importante pietra miliare per Sobi ed è un ulteriore passo avanti per mettere a disposizione delle persone con emofilia B, in Europa e in tutto il mondo, questa innovativa opzione terapeutica” - ha dichiarato Alessandra Antonello, *Medical Director* di Sobi Italia -. “Grazie alla recente introduzione in Europa di rFVIIIFc per l’emofilia A, stiamo già osservando i numerosi vantaggi che la tecnologia Fc può offrire a queste persone. In tal senso, non vediamo l’ora, grazie a rFIXFc, di poter offrire anche alle persone che convivono con l’emofilia B la possibilità di una protezione prolungata con un minor impatto del trattamento sulla qualità di vita”.

Il parere positivo si è basato sui risultati degli studi clinici di fase III che hanno dimostrato l’efficacia, la sicurezza e il profilo di farmacocinetica di rFIXFc per l’emofilia B: lo studio registrativo B-LONG, condotto su adulti e adolescenti trattati in precedenza, e lo studio Kids B-LONG, svolto su bambini al di sotto dei 12 anni di età già precedentemente trattati per l’emofilia B. La raccomandazione del CHMP è rivolta alla Commissione europea, istituzione preposta a concedere l’autorizzazione all’immissione in commercio dei medicinali nella Ue.

Sobi e Biogen collaborano per lo sviluppo e la commercializzazione di rFIXFc per il trattamento dell’emofilia B. Sobi detiene i diritti, in esclusiva, sulla fase di sviluppo finale e sulla commercializzazione del farmaco in alcuni territori di propria competenza (Europa, Nord Africa, Russia e alcuni mercati dei Paesi Medio-Orientali). Biogen detiene i diritti per lo sviluppo e la produzione di rFIXFc 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 B**

L'emofilia B è causata dalla presenza ridotta o assente del fattore IX, necessario per la normale coagulazione del sangue.[[1]](#footnote-1) Secondo gli ultimi dati della *World Hemophilia Federation* sono circa 28.500 le persone colpite da emofilia B nel mondo.[[2]](#footnote-2)

Le persone affette da emofilia B sono soggette a sanguinamenti che possono causare loro dolore, disabilità e danni irreversibili alle articolazioni. Nel peggiore dei casi, questi episodi possono danneggiare gli organi interni e portare ad emorragie anche letali. Le somministrazioni endovenose di fattore IX della coagulazione sostituiscono temporaneamente i fattori della coagulazione necessari per tenere sotto controllo i sanguinamenti e, quando usati come profilassi, prevengono nuovi episodi emorragici. 1

**rFIXFc**

rFIXFc è una proteina di fusione ricombinante a lunga durata d’azione costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell’IgG1 umana (una proteina che si trova comunemente nel corpo) studiata per il trattamento dell’emofilia B. Si ritiene che ciò consenta a rFIXFc di utilizzare una via naturalmente esistente nell’organismo per prolungare così il tempo di permanenza in esso. Benché la fusione con la porzione Fc sia una tecnica in uso da oltre 15 anni, Sobi e Biogen sono le prime aziende a usarla per il trattamento dell’emofilia. Il trattamento con rFIXFc è, attualmente, approvato per l’emofilia B negli Stati Uniti, in Canada, Giappone, Australia e in Nuova Zelanda, dove è stata la prima terapia approvata per l’emofilia B per una protezione prolungata dai sanguinamenti. La somministrazione di rFIXFc, come di qualsiasi altra proteina iniettabile, potrebbe associarsi ad episodi di ipersensibilità di tipo allergico o allo sviluppo di inibitori.

**Sobi**

Sobi è un’azienda multinazionale biofarmaceutica 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 di Stoccolma. Per maggiori informazioni: [www.sobi-italia.it](http://www.sobi-italia.it).

**Per ulteriori informazioni:**

Sergio Lai, General Manager Italy, Greece & Malta                                               Oskar Bosson, Head of Communications

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

E: [sergio.lai@sobi.com](mailto:sergio.lai@sobi.com)                                                                           E: [oskar.bosson@sobi.com](javascript:linkTo_UnCryptMailto('jxfiql7lphxo+ylpplkXplyf+zlj');)

1. 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: February 11, 2016 [↑](#footnote-ref-1)
2. World Federation of Hemophilia. Report on the Annual Global Survey 2013. Available at: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1591.pdf>. Accessed on: February 11, 2016. [↑](#footnote-ref-2)