**rFIXFc approvato nell’Unione Europea per il trattamento dell’emofilia B**

*Prima terapia, proteina di fusione Fc ad emivita prolungata, approvata nella Ue, in grado di estendere la protezione contro i sanguinamenti*

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO: Sobi) e Biogen (NASDAQ: BIIB) hanno annunciato oggi che la Commissione Europea (CE) ha approvato rFIXFc, fattore ricombinante ad emivita prolungata per il trattamento dell’emofilia B, in tutti i 28 Stati membri dell’Unione europea (Ue), così come in Islanda, Liechtenstein e in Norvegia, confermando la sua designazione a farmaco orfano. rFIXFc è l’unica proteina di fusione ricombinante costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell’IgG1 umana per il trattamento dell’emofilia B ad offrire alle persone nella Ue una protezione prolungata contro gli episodi di sanguinamento e un numero minore di infusioni endovenose profilattiche.

rFIXFc è indicato nel trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia B (deficit congenito di fattore IX). Come trattamento di profilassi può essere somministrato per via endovenosa partendo da una dose iniziale ogni 7 o 10 giorni, con la possibilità di regolare l’intervallo di dosaggio in base alla risposta individuale di ogni paziente.

“Grazie all’approvazione di rFIXFc, le persone con emofilia B in Europa hanno ora la possibilità di beneficiare di una prolungata protezione dai sanguinamenti con un numero ridotto di infusioni endovenose” ha affermato Alessandra Antonello, Medical Director di Sobi. “Stiamo lavorando perché rFIXFc sia presto a disposizione dei pazienti in tutta Europa. Insieme a Biogen, siamo entusiasti di continuare a offrire terapie innovative per le persone che convivono con l’emofilia in tutto il mondo”.

L’approvazione da parte della Commissione Europea si è basata sui risultati dello studio clinico di fase 3, B-LONG, che ha dimostrato l'efficacia, la sicurezza ed il profilo farmacocinetico di rFIXFc negli adulti ed adolescenti con emofilia B già precedentemente trattati e dello studio clinico di fase 3, KIDS B-LONG, che ha dimostrato l'efficacia, la sicurezza e farmacocinetica di rFIXFc in bambini sotto i 12 anni di età già trattati in precedenza. Le reazioni avverse per rFIXFc, con un’incidenza pari allo ≥0,5 per cento, sono state nasofaringite (comune raffreddore), influenza, artralgia (dolore articolare), infezione del tratto respiratorio superiore, mal di testa, e ipertensione. La maggior parte di questi sono stati giudicati non attinenti o, probabilmente, non correlati al farmaco in studio.

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 nei territori di propria competenza (essenzialmente 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.

---

**rFIXFc**

rFIXFc è una proteina di fusione ricombinante ad emivita prolungata costituita dal fattore IX della coagulazione connesso al dominio Fc dell’IgG1 umana (una proteina naturalmente presente nell’organismo) studiata per il trattamento dell’emofilia B. Questa tecnica consente a rFIXFc di utilizzare una via naturalmente presente nell’organismo per prolungare il tempo di permanenza della terapia nel corpo. 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.

rFIXFc è, attualmente, approvato per l’emofilia B negli Stati Uniti, nell’Unione europea, in Canada, Giappone, Australia e in Nuova Zelanda, e in altri paesi per fornire una protezione dai sanguinamenti a emivita prolungata. La somministrazione di rFIXFc, come di qualsiasi altra proteina iniettabile, potrebbe associarsi ad episodi di ipersensibilità di tipo allergico o allo sviluppo di inibitori.

**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 28.000 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 infusioni 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

**Sobi**

Sobi è una 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 2015 Sobi ha raggiunto un fatturato totale di 3,2 miliardi di corone svedesi (385 milioni di dollari) e circa 700 dipendenti. (STO:SOBI) è quotata al NASDAQ 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)