

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sverige, och Genève, Schweiz, 20 november 2018

FDA har godkänt Gamifant® (emapalumab), den första och enda behandlingen för primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)

[Swedish Orphan Biovitrum AB\(publ\) \(Sobi™\)](#) (STO: SOBI), ett internationellt biofarmaceutiskt företag inriktat på sällsynta sjukdomar, och [Novimmune SA](#), ett schweiziskt bioteknikföretag, meddelar idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har godkänt Gamifant® (emapalumab-lzsg), en antikropp som blockerar gammainterferon (IFN γ), för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) som inte svarar på behandling, där sjukdomen återkommande eller fortskridande, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling. Primär HLH är ett ytterst sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom med hög sjuklighet och dödlighet och mot vilket det hittills inte funnits någon godkänd läkemedelsbehandling. Den riktade verkningsmekanismen hos Gamifant innebär ett stort medicinskt framsteg för behandling av dessa patienter.

”FDA-godkännandet av Gamifant är ett viktigt steg i att förverkliga Sobis vision att tillhandahålla läkemedel som gör en betydande skillnad för patienter med stora medicinska behov. Gamifant kommer att väsentligt bidra till Sobi’s affärsområde Immunology tillsammans med Kineret och Synagis®, en produkt vilken vi nyligen förvärvade USA-rättigheterna till. Vi skulle också vilja uppmärksamma det utmärkta arbete som Novimmune har gjort för att utveckla produkten och få den godkänd. Sobi kommer nu att fokusera på att säkerställa en framgångsrik kommersialisering av Gamifant på den amerikanska marknaden”, säger Sobis vd och koncernchef Guido Oelkers.

FDA:s godkännande av Gamifant baserades på den pivotala fas-2/3 kliniska studien som omfattade patienter med primär HLH. Studiens primära effektmått uppnåddes i patienter som antingen inte svarat på behandling, där sjukdomen är återkommande eller fortskridande eller där barnen är intoleranta mot konventionell HLH-behandling. Effekten uppnåddes med en kliniskt relevant och statistiskt säkerställd andel patienter som visade ett övergripande positivt behandlings svar efter avslutad behandling. Dessutom gick 70 procent av patienterna vidare till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT). De vanligast rapporterade biverkningarna ($\geq 20\%$) var infektioner, hypertoni, infusionsrelaterade reaktioner och feber. Resultaten från den pivotala studien kommer att presenteras vid uppkommande internationella möten.

”Primär HLH är en mycket sällsynt sjukdom med hög sjuklighet och dödlighet. Godkännandet av Gamifant som den första avsedda behandlingen av primär HLH är ett viktigt steg på vår resa för att hjälpa dessa patienter”, säger Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

”Vi är väldigt glada att kunna hjälpa patienter med primär HLH genom att ett nytt läkemedel för behandling av primär HLH nu blir tillgängligt. Gamifant är det första läkemedlet som är specifikt riktat mot att neutralisera IFN γ . Vi vill tacka de patienter, familjer och vårdgivare som deltog i den kliniska studien med

emapalumab och vars insatser hjälpte till att göra dagens godkännande möjligt. Vi skulle också vilja tacka FDA för deras kontinuerliga stöd under utvecklingsarbetet. Baserat på den kliniska valideringen av neutralisering av IFN γ pågår eller planeras ytterligare kliniska studier med emapalumab vid sjukdomar som anses framkallade av IFN γ ”, säger Cristina de Min, Chief Medical Officer på Novimmune.

”HLH är ett tillstånd där immunreglering är påverkad och som innebär att cytokinerna hamnar i stor obalans. Allt pekar på att cytokinen gammainterferon har en central roll i denna sjukdom. Före godkännandet av emapalumab har det inte funnits något läkemedel som specifikt kunnat neutralisera IFN γ . Emapalumab innebär att vi har fått tillgång till helt nya sätt att behandla primär HLH och därmed hjälpa dessa mycket sjuka patienter att nå ända fram till hematopoetisk transplantation”, säger Michael Jordan, M.D. vid Division of Bone Marrow Transplantation and Immune Deficiency vid Cincinnati Children’s Hospital HLH Center of Excellence samt huvudprövare i den kliniska studien av Gamifant.

Gamifant granskades under “Priority Review” i USA och har även tilldelats sÄrläkemedelsstatus, “Breakthrough Therapy Designation” samt “Rare Pediatric Disease Designation” av FDA. Novimmune är berättigat till en så kallad Priority Review Voucher (PRV) i och med godkännandet. I Europa mottog europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, ansökan om marknadsföringstillstånd för emapalumab för granskning i augusti 2018 och har tilldelat emapalumab sÄrläkemedelsstatus och PRIME-status för prioriterade läkemedel (PRiority MEDicine).

Novimmune utvecklade Gamifant och ansökte om marknadsföringstillstånd hos FDA. Sobi förvärvade de globala rättigheterna till Gamifant från Novimmune genom ett exklusivt licensavtal som tillkännagavs i juli 2018.

Om primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH)

Primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) är en ytterst sällsynt, snabbt fortskridande, ofta dödlig sjukdom karakteriserad av hyperinflammation, varvid en kraftig överproduktion av gammainterferon (IFN γ) driver immunsystemet till okontrollerad överdriven aktivering, vilket slutligen leder till organsvikt. FÄrre än uppskattningsvis 100 fall av primär HLH diagnostiseras varje År i USA och det finns troligen en underdiagnostisering av sjukdomen. Diagnosen är svårstÄlld pÅ grund av variationerna i tecken och symtom som kan innefatta feber, svullnad av levern och mjÄlten, allvarligt låga värden av röda och vita blodkroppar, blödningsrubbingar, infektioner, neurologiska symtom, organdysfunktion och organsvikt. Primär HLH kan snabbt bli livshotande om den lämnas obehandlad, med en medianöverlevnad pÅ mindre än två månader. Det direkta behandlingsmålet är att snabbt kontrollera hyperinflammationen och förbereda för hematopoetisk stamcellstransplantation. Den nuvarande konventionella behandlingen före transplantation innehåller steroider och kemoterapi som inte är specifikt godkänd för att behandla primär HLH.

Om Gamifant® (emapalumab)

Emapalumab är en human monoklonal antikropp (mAb) som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN γ). I USA är Gamifant godkänt för pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) vid refraktär, recidiverande eller progressiv sjukdom, eller vid intolerans mot standardbehandling för HLH. Gamifant är den första och enda läkemedelsbehandlingen som godkänts för primär HLH i USA, ett ytterst sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom som oftast

uppenbaras inom det första levnadsåret och snabbt kan bli livshotande om det inte diagnostiseras och behandlas. Godkännandet baseras på data från den pivotala fas-2/3 kliniska studien (NCT01818492). Gamifant ska administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka ända fram till den hematopoetiska stamcellstransplantation (HSCT). Besök www.gamifant.com för mer information, inklusive fullständig förskrivningsinformation för USA.

Om Sobi™

Sobi är ett internationellt specialistläkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vår vision är att bli ansedd som en global ledare i att tillhandahålla innovativa och livsförändrande behandlingar för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på behandlingar inom Haemophilia och Specialty Care. Samarbeten avseende utveckling och kommersialisering av produkter inom Specialty Care är en viktig del av vår strategi. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom proteinteknik och produktion av biologiska läkemedel. 2017 uppgick intäkterna till 6,5 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 850. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

Om Novimmune

Novimmune SA är ett privatägt, schweiziskt bioteknikföretag inriktat på att upptäcka och utveckla antikroppsbaseade läkemedel avsedda för behandling av inflammatoriska sjukdomar, immunrelaterade sjukdomar och cancer. Novimmune grundades 1998 av immunologen Professor Bernard Mach, har drygt 150 anställda och bedriver verksamhet i två anläggningar i Genève och Basel (Schweiz). Sedan starten har Novimmune byggt en betydande forsknings- och utvecklingsportfölj av läkemedelskandidater, varav emapalumab är den mest avancerade. Utvecklingsprogrammet av Gamifant stöddes av ett FP7-bidrag från EU-kommissionen (FIGHT HLH). Novimmune har också utvecklat en plattform för att generera bispecifika antikroppar, utformad för att effektivisera identifiering, produktion och karakterisering av helt humaniserade bispecifika antikroppar. Ytterligare information finns på www.novimmune.com

För mer information, vänligen kontakta:

Sobi

Media relations

Charlotte af Klercker, Head of Communications (tf.)

+46 707 297 327

charlotte.afklercker@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

jorgen.winroth@sobi.com

Novimmune

Chief Business Officer

Adrian Mills

+41 791 956 162

amills@novimmune.com