

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 22 November 2018

### **Late-breaking abstract på ASH stödjer evidens för den första behandlingen för primär HLH som gör betydande skillnad för patienter**

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) och [Novimmune SA](#) har nöjet att meddela att artikeln: *"Safety and efficacy of emapalumab in pediatric patients with primary hemophagocytic lymphohistiocytosis"* (Säkerhet och effekt hos emapalumab i barn med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos), accepterades som ett så kallat late-breaking abstract, en sent tillkommen artikel som belyser nytillkomna studieresultat med stort vetenskapligt värde, av den amerikanska hematologiföreningens, ASH (American Society of Hematology), 60:e årliga kongress i San Diego, Kalifornien, den 1:a till 4:e december. Presentationen kommer att hållas av huvudförfattaren Professor Franco Locatelli, Head of the Department of Onco-hematology, Bambino Gesù Children's Hospital IRCCS, Rom, Italien.

Emapalumab, som nyligen godkändes av FDA under namnet Gamifant®, är en antikropp som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN $\gamma$ ) för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) som inte svarar på behandling, där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

"Det är mycket spännande att de kliniska resultaten för emapalumab för behandling av primär HLH har blivit utvalda att presenteras på denna viktiga medicinska kongress. Vi uppskattar erkännandet från ASH som valt att belysa denna mycket sällsynta och livshotande sjukdom. Erkännandet bekräftar vikten av den underliggande vetenskapen för att stärka förståelsen för HLH. Detta hade inte kunnat åstadkommas utan stöd från ansvariga prövare och de patienter som under flera år deltog i studien", säger Cristina de Min, Chief Medical Officer på Novimmune och Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

"Resultaten från den pivotala fas-2/3 kliniska studien belyser det innovativa sätt på vilket emapalumab kontrollerar hur HLH yttrar sig. Denna nya medicin som specifikt neutraliserar cyokinet gammainterferon, som har visat sig ha en nyckelroll vid HLH-patofysiologi, representerar den första riktade behandlingen för denna sällsynta sjukdom. Pediatriker och hematologer har nu en ny behandlingsmöjlighet för att blockera den hyperinflammation som är typisk för HLH. Tack vare användningen av emapalumab kan patienter nu också genomgå stamcellstransplantation, den enda tillgängliga behandlingen som kan bota dessa patienter, under bättre förutsättningar och utan behovet av höga doser av steroider", säger Professor Locatelli.

**Muntlig presentation:**

- Safety and Efficacy of Emapalumab in Pediatric Patients with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis: Tisdag, 4 december, under sessionen för Late-Breaking Abstracts, 7:30-9:15. Artike l#120810. Hall AB (San Diego Convention Center)

Ytterligare detaljer gällande artikeln finns på kongressens hemsida:

<https://ash.confex.com/ash/2018/webprogram/Paper120810.html>

**Satellitesymposium:**

Sobi kommer också att vara värd för ett satellitesymposium på fredagen före den amerikanska hematologiföreningens, ASH (American Society of Hematology), 60:e årliga kongress.

- Hemophagocytic Lymphohistiocytosis – New Treatment Horizons: Fredag 30 november, 18:00- 22:00. Hyatt, Coronado Ballroom A-C.

---

**Om primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)**

Primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) är en ytterst sällsynt, snabbt fortskridande, ofta dödlig sjukdom karakteriserad av hyperinflammation, varvid en kraftig överproduktion av gammainterferon (IFN $\gamma$ ) 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 $\gamma$ ). I USA är Gamifant godkänt för pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (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. 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](http://www.gamifant.com) för mer information, inklusive fullständig förskrivningsinformation för USA.

### **Om Sobi™**

Sobi är ett internationellt specialtläkemedelsföretag 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](http://www.sobi.com).

### **För mer information kontakta:**

#### Media

Charlotte af Klercker, Head of Communications (acting)  
+46 707 297 327  
[charlotte.afklercker@sobi.com](mailto: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](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)