

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 4 december 2018

### Data som stödjer emapalumab som en innovativ, riktad behandlings-möjlighet för primär HLH presenteras på ASH

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi™\)](#) och [Novimmune SA](#) presenterar data från den pivotala fas 2/3-studien med emapalumab-lzsg för behandling av primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH). Presentationen skedde vid en session med så kallade late-breaking abstracts, det vill säga sent tillkomna artiklar som belyser nytillkomna studieresultat med stort vetenskapligt värde, på ASH, den amerikanska hematologiföreningens (American Society of Hematology) 60:e årliga kongress i San Diego, Kalifornien, 1-4 december 2018.

“Primär HLH är ett aggressivt hyperinflammatoriskt syndrom som snabbt kan få dödlig utgång om patienten inte får behandling. Denna studie visade att behandling med emapalumab gav ett snabbt och bestående behandlingssvar som hjälpte dessa sköra och ofta mycket unga patienter att kontrollera hyperinflammationen och uppnå stamcellstransplantation, som idag är det enda som kan bota denna livshotande sjukdom, dessutom potentiellt utan de biverkningar som långvarig cytostatikabehandling ger. Det är dessutom mycket uppmuntrande att studien visar 90 procents överlevnad efter transplantation, särskilt med tanke på att primär HLH är förknippat med hög dödlighet och sjuklighet”, säger huvudförfattaren och presentatören av artikeln professor Franco Locatelli, Head of the Department of Onco-Hematology, Bambino Gesù Children’s Hospital IRCCS, Rom, Italien.

Studien uppnådde sitt primära effektmått då 64,7 procent av alla behandlade patienter (22 av 34;  $p=0,0031$ ) och 63 procent av de patienter som inte hade svarat på tidigare konventionell HLH-behandling (17 av 27;  $p=0,0134$ ) visade ett övergripande positivt behandlingssvar vid avslutad behandling, definierat som antingen komplett eller partiellt behandlingssvar, eller HLH-förbättring. I båda kohorterna var den övergripande responsfrekvensen (overall response rate, ORR) signifikant högre än den prespecificerade nollhypotesen på 40 procent. Mediantiden till respons var åtta dagar, och responsen kvarstod hos patienterna i genomsnitt 75 procent av behandlingstiden.

Merparten av de behandlade patienterna – 64,7 procent (22 av 34) av hela patientgruppen och 70,4 procent (19 av 27) av de patienter som inte hade svarat på tidigare konventionell HLH-behandling – gick vidare till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT), och 90,9 procent (20 av 22) av hela den gruppen och 89,5 procent (17 av 19) av subgruppen överlevde HSCT. De vanligaste rapporterade biverkningarna var infektioner (56 procent), hypertoni (41 procent), infusionsrelaterade reaktioner (27 procent) och feber (24 procent).

“Vi känner oss mycket uppmuntrade av de data om emapalumab för primär HLH som presenteras på ASH och ser fram emot att studera hur emapalumab påverkar andra sjukdomar där gammainterferon anses vara drivande i sjukdomsutvecklingen”, säger Cristina de Min, Chief Medical Officer på Novimmune, och Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer and Head of Research & Development på Sobi.

Artikeln *“Safety and efficacy of emapalumab in pediatric patients with primary hemophagocytic lymphohistiocytosis”* kommer att presenteras under tisdagen den 4 december 2018 kl. 08:45 av dr Locatelli under late-breaker-sessionen kl. 07:30–09:15 PST.

Emapalumab är en antikropp som blockerar gammainterferon (IFN $\gamma$ ), godkänd som Gamifant<sup>®</sup> av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär HLH som inte svarar på behandling, där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling. Primär HLH är ett ytterst sällsynt, genetiskt, livshotande syndrom som karakteriseras av en hyperinflammation som man tror drivs av överproduktion av IFN $\gamma$ .

I den globala öppna pivotala kliniska fas 2/3-singelarmstudien av multicentertyp deltog 34 patienter med diagnosen primär HLH, bekräftad med genetisk analys, eller baserad på familjehistoria eller förekomst av minst 5 av de 8 diagnostiska kriterierna i HLH-2004. Patienterna fick emapalumab intravenöst var 3:e till 4:e dag, inledningsvis 1 mg/kg och därefter i ökande dos efter behov upp till 10 mg/kg. Emapalumab administrerades samtidigt med dexametason, som kunde trappas ner under studiens gång. Behandlingen varade i genomsnitt 8 veckor, den undre gränsen var minst 4 veckor och, vid behov, kunde behandlingen förlängas fram till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT). Av de 34 patienter som deltog hade 27 inte svarat på konventionell HLH-behandling tidigare. Mer information om artikeln finns på ASH:s webbplats: <https://ash.confex.com/ash/2018/webprogram/Paper120810.html>

-----

#### **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 $\gamma$ ) 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 specialitläkemedelsföretag 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)