

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 7 maj 2020

Resultat från den pivotala fas 2/3-studien med emapalumab hos patienter med primär HLH publicerade i *New England Journal of Medicine*

[Sobi™](#) meddelade idag att resultaten från den pivotala fas 2/3-studien som utvärderade effekt och säkerhet av emapalumab hos patienter med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) har publicerats i *New England Journal of Medicine* den 7 maj 2020. Emapalumab är den första behandlingen av primär HLH som är godkänd av amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA). Emapalumab är under utvärdering för godkännande av den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA).

Primär HLH är en sällsynt sjukdom som vanligtvis debuterar i spädbarnsåldern men kan uppträda även hos vuxna, och är förknippad med hög sjuklighet och dödlighet. Denna livshotande sjukdom kännetecknas av okontrollerad hyperinflammation. Målet med behandlingen är att stoppa den okontrollerade hyperinflammationen så att patienten kan genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT).

“Att resultaten från den pivotala studien publiceras i denna mycket respekterade medicinska tidskrift vittnar om vilken betydelse emapalumab har för patienter med primär HLH”, säger Milan Zdravkovic, Head of Research and Development och Chief Medical Officer på Sobi. “Resultaten av studien ökar förståelsen av primär HLH och interferon gammas roll i patogenesen. Vår önskan är att bidra till förbättrad vård och behandling för de patienter som har drabbats av denna potentiellt dödliga sjukdom.”

Resultaten med emapalumab vid primär HLH som publicerats i *New England Journal of Medicine* visar en total svarsfrekvens på 63% hos behandlingserfarna patienter efter 8 veckors behandling (jämfört med den förutbestämda nollhypotesen om 40 % ($p=0.02$)). I gruppen med behandlingserfarna patienter kunde 70 % genomgå transplantation. De vanligast rapporterade biverkningarna ($\geq 20\%$) var infektioner, hypertoni, infusionsrelaterade reaktioner och feber.

Michael Jordan, professor i pediatrik vid Cincinnati Children's Hospital Medical Center, USA och en av de koordinerande huvudprövarna i studien (USA) bekräftar vikten av att finna nya behandlingar för HLH och betonar betydelsen av denna publikation: "Resultaten från denna studie ger hopp för personer som drabbats av denna förödande sjukdom."

Professor Franco Locatelli, chef för avdelningen för Onco-Haematology vid Bambino Gesù Children's sjukhus IRCCS, universitetet Sapienza i Rom, Italien, även han koordinerande huvudprövare i studien (EU) tillägger: "Emapalumab representerar en prototyp av riktad molekyllär behandling och ett viktigt steg mot att förbättra resultaten för denna allvarliga och livshotande sjukdom."

Denna pivotala kliniska studie är den första prospektiva studien som utvärderat och rapporterat behandlingseffekter genom objektiva och fördefinierade kliniska- och laboratoriekriterier vid primär HLH. Prekliniska data har visat att interferon gamma (IFN γ) spelar en central roll i uppkomst och utveckling av denna sjukdom¹. Emapalumab är en monoklonal antikropp som binder till och neutraliserar IFN γ . Baserat på denna kliniska studie godkändes emapalumab av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av primär HLH hos vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med återkommande eller fortskridande primär HLH, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling. Emapalumab erhöll initialt s.k. breakthrough-status av FDA i USA.

Om emapalumab

Emapalumab är en human monoklonal antikropp (mAb) som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN- γ). I USA är emapalumab godkänt för pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, som inte svarar på eller är intoleranta mot konventionell HLH-behandling. Emapalumab är den första och enda läkemedelsbehandlingen som godkänts för primär HLH i USA, ett sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom som oftast uppträder inom det första levnadsåret och snabbt kan bli livshotande om det inte diagnostiseras och behandlas. FDA-godkännandet baseras på data från fas-2/3 kliniska studien (NCT01818492 och NCT02069899). Emapalumab ska administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka ända fram till den hematopoetiska stamcellstransplantation (HSCT). Den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA utvärderar emapalumab för primär HLH.

Om Sobi™

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hemofili, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1300 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information, kontakta

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
0733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations
0708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

1. Jordan et al. Blood 2004;104:735-43.