

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sweden 24 juli 2020

Sobi kommer att ansöka om förnyad prövning av emapalumab i Europa efter negativt CHMP utlåtande

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi™\) \(STO:SOBI\)](#) meddelade idag att EMA:s vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP) gett ett negativt utlåtande med rekommendation att avslå godkännande för försäljning av emapalumab för behandling av primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) hos barn under 18 år i Europa. Då emapalumab tillgodoser ett stort medicinskt behov för en patientpopulation som saknar godkänd behandling inom Europa, kommer Sobi att begära att CHMP gör en förnyad prövning av emapalumab. Ett utlåtande väntas i slutet av 2020.

Primär HLH är ett sällsynt syndrom som vanligtvis visar sig i spädbarnsåldern men kan även uppträda hos vuxna, och är förknippat med hög sjuklighet och dödlighet. Trots vissa behandlingsframsteg kvarstår ett mycket stort medicinskt behov, i synnerhet hos patienter som misslyckats med konventionell behandling, då det inte finns några godkända behandlingsalternativ utanför USA. Emapalumab är den första behandlingen för primär HLH som godkänts av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA. Över 100 patienter har behandlats i USA och nytto/riskprofilen är fortsatt gynnsam.

"Sedan FDA-godkännandet 2018 har emapalumab visat en positiv effekt/säkerhetsprofil vid patientanvändning i USA. Produkten har gjort avsevärd skillnad för en mycket utsatt grupp patienter i USA. Vi är stolta över att ha kunnat göra ett betydande bidrag vid indikationen primär HLH med vår produkt och gläder oss över publiceringen i *New England Journal of Medicine*, den senaste vetenskapliga valideringen av vårt arbete. Under de senaste åren har vårt team samlat mycket erfarenhet inom detta tämligen komplexa sjukdomsområde. Vi kommer att göra vårt yttersta för att förmedla dessa insikter och bemöta CHMP:s öppna frågor under omprövningen i syfte att säkerställa tillgång till denna behandling för barn med primär HLH i Europa", säger Guido Oelkers, vd och koncernchef för Sobi.

HLH är en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov globalt. De viktigaste marknaderna baserat på antalet patienter med såväl primär som sekundär HLH är Kina följt av USA, Europa och Japan. Utöver HLH kommer Sobi att initiera kliniska studier med emapalumab för potentiella indikationer såsom förebyggande behandling av patienter med riskfaktorer för akut transplantatavstötning vid hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT) vilket kommer ytterligare att utöka patientpopulationen och marknadspotentialen för emapalumab. Sobis tidigare

kommunicerade uppskattade toppförsäljning för emapalumab över 500 miljoner USD är oförändrad, oavsett ett godkännande i Europa.

Professor Franco Locatelli, huvudprövare i EU säger: "I egenskap av huvudprövare vid NI-0501-04/05-studierna i Europa blev jag högst förvånad över EMA:s beslut att inte godkänna emapalumab för barn med primär HLH som misslyckats med eller är intoleranta mot konventionell behandling. Jag hade förmånen att observera att denna monoklonala antikropp, riktad mot det viktigaste cytokinet i sjukdomens patofysiologi, var effektiv och tolererades väl hos en stor andel patienter som representerar en modell för precisionsmedicin. Eftersom amerikanska barn sedan nästan två år tillbaka kan behandlas med denna nya, säkra, mycket effektiva och riktade behandling, banar EMA:s beslut vägen för vårdmigration till center utanför Europa där behandlingen erbjuds."

Professor Michael Jordan, huvudprövare i USA bekräftar: "NI-0501-04/05-studierna har visat att emapalumab har tydlig terapeutisk aktivitet vid primär HLH och har validerat gammainterferon som ett väsentligt mål hos dessa patienter. Studierna har samtidigt visat att denna unika och specifikt riktade behandlingsmetod har en mycket gynnsam säkerhetsprofil. Jag är tacksam för möjligheten att bidra till att leda dessa studier som genomfördes med största stringens och öppenhet, vida överstigande hittills utförda studier i denna mycket utmanande patientpopulation. Det världsomspännande prövningsteamet, inklusive läkare på många center i USA och Europa, samt individer hos Sobi, bör vara stolta över detta banbrytande arbete. Jag är övertygad om att emapalumab kommer att hjälpa patienter med HLH över hela världen allteftersom vi fortsätter att lära hur vi bäst tillämpar detta unika läkemedel hos patienter med HLH."

Resultat från den pivotala fas 2/3-studien som utvärderar effekten och säkerheten av emapalumab hos patienter med primär HLH publicerades nyligen i den högt ansedda medicinska tidskriften, *New England Journal of Medicine*.

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).

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 hematologi, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1 400 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.

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postadress SE-112 76 Stockholm, Sweden
Telefon: + 46 8 697 20 00 | www.sobi.com

Denna information är sådan information som Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom Linda Holmströms, Corporate Communications and Investor Relations, försorg, för offentliggörande den 24 juli 2020 kl 14:00 CEST.

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