

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 17 Oktober 2020

Emapalumabs effekt bekräftas av sensitivitetsanalys presenterad vid ESID2020

- Behandling av primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH), en sällsynt och livshotande sjukdom, syftar till att stabilisera sjukdomen så att patienten kan genomgå hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT), den enda åtgärd som kan bota sjukdomen
- Det medicinska behovet är fortfarande stort då nuvarande standardbehandling är förknippad med biverkningar samt att ingen minskning i dödlighet har kunnat visats under de senaste 20 åren
- Den pivotala studien av emapalumab på patienter med primär HLH utan tillfredsställande svar på tidigare behandling, var den första studien på HLH där kliniskt objektiva svarskriterier använts
- Resultat från sensitivitetssanalysen visar att olika definitioner av behandlingssvar stödjer den primära analysen och användandet av kliniskt objektiva svarskriterier
- Alla analyser stödjer det primära effektmåttet på 63% övergripande svarsfrekvens (overall response rate; ORR) hos patienter med otillräckligt svar på standardbehandling i den pivotala studien

[Sobi™](#) presenterade idag resultat från sensitivitetsanalysen av den pivotala fas 2/3-studien (NCT01818492) på emapalumab hos patienter med primär HLH vid det 19:e mötet av European Society of Immunodeficiencies (ESID). Analyserna av emapalumabs effekt vid primär HLH omfattade olika definitioner av behandlingssvar och, gav alla stöd till studiens primära effektmått på 63 % övergripande svarsfrekvens (ORR) hos patienter med otillräckligt svar på standardbehandling. Resultatet av den pivotala studien publicerades i NEJM i maj 2020.

“Denna analys bekräftar metodiken och val av kliniskt objektiva svarskriterier i den pivotala studien som utvärderade behandlingseffekt av emapalumab vid primär HLH, en sjukdom där det för närvarande inte finns några validerade effektmått för behandlingssvar, säger Ravi Rao, Chief Medical Officer och Head of Research and Development på Sobi. “Vi står fast vid vårt åtagande att göra emapalumab tillgängligt för patienter som drabbas av detta allvarliga tillstånd runt om i världen.”

Trots dagens standardbehandling, glukokortikoider och etoposid, med eller utan cyklosporin är det medicinska behovet fortfarande stort hos dessa patienter. Standardbehandling är associerad med biverkningar som cytotoxicitet och opportunistiska infektioner, och ingen minskning i dödlighet har kunnat visats under de senaste 20 åren trots användning av nuvarande standardbehandlingar.

På grund av sjukdomens sällsynthet, finns ingen etablerad metod för bedömning av svarsfrekvens. Den pivotala studien använde kliniskt objektiva svarkriterier för att definiera primära effektmått av övergripande svarsfrekvens för emapalumab vid primär HLH. Sensitivitetsanalysen ger stöd för användandet av kliniskt objektiva ORR som ett primärt effektmått vid studier av primär HLH.

Emapalumab är den första läkemedelsbehandlingen som godkänts av den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA), för behandling av primär HLH. Emapalumab är under utvärdering för godkännande av primär HLH hos den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA.

Om emapalumab

Emapalumab är en monoklonal antikropp som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN- γ). I USA är emapalumab godkänt för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) med refraktär, återkommande eller progressiv sjukdom eller intolerans mot konventionell HLH-behandling. Primär HLH är 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 studier (NCT01818492 och NCT02069899). Emapalumab ska administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram tills hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT). Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) utvärderar emapalumab för primär HLH. Emapalumab har i september 2020 tilldelats status som säriläkemedel i USA för prevention av transplantatavstötning efter hematopoetisk stamcellstransplantation.

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 1400 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

¹Locatelli F, Jordan MB, Allen C, et al. Emapalumab in children with primary hemophagocytic lymphohistiocytosis. N Engl J Med 2020;382:1811-22.