

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 13 november 2020

### CHMP har gett ett negativt utlåtande för emapalumab för behandling av primär HLH i Europa

[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 ansökan om försäljningstillstånd för emapalumab för behandling av primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) hos barn under 18 år i Europa. Utlåtandet bekräftar det första yttrandet från juli 2020 som omprövades på Sobis begäran.

"Rekommendationen från CHMP är en besvikelse med tanke på det stora medicinska behov för patienter med primär HLH där en godkänd behandling saknas i Europa. Under omprövningen arbetade vi intensivt med läkare och patienter och lyckades räta ut några av EMA:s frågetecken, dock inte alla", säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi har fullt förtroende för emapalumabs kliniska profil och lägger nu vårt fokus på att åstadkomma tillgång till emapalumab för patienter på andra marknader, samt på att utveckla nya indikationer.

#### Om primär HLH

Primär HLH är ett sällsynt syndrom som vanligtvis visar sig i spädbarnsåldern men även kan 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 nytta-riskprofilen är fortsatt gynnsam.

#### Om emapalumab

Emapalumab är en monoklonal antikropp som binder till och neutraliserar gammainterferon (IFN- $\gamma$ ). 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). Emapalumab har i september 2020 tilldelats status som sällsynt läkemedel 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 hematologi, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1 500 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. För 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

#### Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postadress SE-112 76 Stockholm, Sweden  
Telefon: + 46 8 697 20 00 | [www.sobi.com](http://www.sobi.com)

*Denna information är sådan information som Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning och lagen om värdepappersmarknaden. Informationen lämnades, genom Linda Holmströms, Corporate Communication and Investor Relations, försorg, för offentliggörande den 13 november kl 13:00 CET.*

**Kontaktpersoner:**

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations

+ 46 733 666 599

[paula.treutiger@sobi.com](mailto:paula.treutiger@sobi.com)

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations

+ 46 708 734 095

[linda.holmstrom@sobi.com](mailto:linda.holmstrom@sobi.com)