

PRESSMEDDELANDE

Stockholm den 25 mars 2019

Den nationella organisationen för sällsynta sjukdomar (NORD) utnämner Sobi och Novimmune till 2019 års Rare Impact Award inom kategorin industriinnovation för godkännandet av Gamifant® (emapalumab)

[Sobi™](#) och Novimmune SA har blivit utnämnda till 2019 års Rare Impact Award, en utmärkelse som den internationella organisationen för sällsynta sjukdomar (NORD) i USA delar ut. Bolagen är nominerade i kategorin industriinnovation för den amerikanska läkemedelsmyndighetens, FDA, godkännande av Gamifant® (emapalumab-lzsg) i november 2018 för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) som inte svarar på behandling, där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

Utmärkelsen Rare Impact Award uppmärksammar individer, organisationer och innovatörer inom industrin som på ett enastående sätt underlättar för de som lever med sällsynta sjukdomar och deras omgivning. Ceremonin kommer att äga rum i Houston lördagen den 22 juni som en del i NORDs forum för patienter och familjer med sällsynta sjukdomar, [2019 Living Rare, Living Stronger NORD Patient and Family Forum](#).

”Vi är mycket hedrade över NORDs utmärkelse för det arbete vi lagt ner för att tillhandahålla Gamifant till patienter med primär HLH. Primär HLH är en mycket allvarlig sjukdom och vi är väldigt tacksamma att kunna hjälpa dessa mycket sjuka patienter”, säger Rami Levin, President of Sobi i Nordamerika.

”Vi på Novimmune är mycket stolta över att vår forskning och utveckling har lett till att ett nytt läkemedel blivit godkänt som kan göra skillnad för de som lever med primär HLH”, säger Cristina de Min, Chief Medical Officer på Novimmune. ”Vi delar den här utmärkelsen med de patienter, familjer och vårdgivare som deltog i den kliniska studien med emapalumab och vars insatser bidrog till att göra FDA-godkännandet möjligt.

Primär HLH är ett ytterst sällsynt hyperinflammatoriskt syndrom med hög sjuklighet och dödlighet och mot vilket det hittills inte funnits någon godkänd läkemedelsbehandling. Målet med HLH-behandling är att kontrollera den allvarliga inflammationen och förbereda för hematopoetisk stamcellstransplantation som är det enda som kan bota sjukdomen. En kombination av kemoterapi och höga doser av steroider har hittills varit det konventionella sättet att behandla HLH. Den riktade verkningsmekanismen hos Gamifant innebär ett stort medicinskt framsteg för behandling av dessa patienter.

Om primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)

Primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) är en ytterst sällsynt, snabbt fortskridande, ofta dödlig sjukdom karakteriserad av hyperinflammation, varvid en kraftig överproduktion av gammainterferon (IFN γ) 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 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 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. Godkännandet baseras på data från den pivotala fas-2/3 kliniska studien (NCT01818492). 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 för mer information, inklusive fullständig förskrivningsinformation för USA. Emapalumab utvecklades av Novimmune som ansökte om marknadsföringstillstånd hos FDA. Sobi förvärvade de globala rättigheterna till emapalumab från Novimmune genom ett exklusivt licensavtal som tillkännagavs i juli 2018.

Om Sobi™

På Sobi gör vi betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Som ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag, tillhandahåller vi innovativa behandlingar inom hemofili, immunologi samt nischläkemedel. Vi tillför något sällsynt till sällsynta sjukdomar—en tro på styrkan av fokus, kraften av att vara snabbtänkta och potentialen hos de människor vi finns till för. Det hårda arbete och den hängivenhet som våra cirka 1050 medarbetare runt om i världen bidrar med har varit avgörande för vår framgång i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. 2018 uppgick de totala intäkterna till 9,1 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

Om Novimmune

Novimmune SA är ett privatägt, schweiziskt bioteknikföretag inriktat på att upptäcka och utveckla antikroppsbaseade läkemedel avsedda för behandling av inflammatoriska sjukdomar, immunrelaterade sjukdomar och cancer. Novimmune grundades 1998 av immunologen Professor Bernard Mach, har drygt 150 anställda och bedriver verksamhet i två anläggningar i Genève och Basel (Schweiz). Sedan starten har Novimmune byggt en betydande forsknings- och utvecklingsportfölj av läkemedelskandidater, varav emapalumab är den mest avancerade. Utvecklingsprogrammet av Gamifant stöddes av ett FP7-bidrag från EU-kommissionen (FIGHT HLH). Novimmune har också utvecklat en plattform för att generera bispecifika antikroppar, utformad för att effektivisera identifiering, produktion och karakterisering av helt humaniserade bispecifika antikroppar. Ytterligare information finns på www.novimmune.com

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postadress: 112 76 Stockholm
Telefon +08 697 20 00 | www.sobi.com

För mer information, vänligen kontakta:

Sobi

Media relations/Investor relations

Linda Holmström, Senior Communications/IR Manager

+46 708 734 095

linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Senior IR Advisor

+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

jorgen.winroth@sobi.com

Paula Treutiger, Head of Communications & IR

+46 733 666 599

paula.treutiger@sobi.com

Novimmune

Chief Business Officer

Adrian Mills

+41 791 956 162

amills@novimmune.com