

Stockholm, den 18 juni 2019

Nya data visar effekten av emapalumab hos patienter med makrofagaktiverande syndrom (MAS)

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) Sobi™ (STO:SOBI) meddelar att nya forskningsresultat med emapalumab har presenterats på den vetenskapliga kongressen European League Against Rheumatism (EULAR)/ Paediatric Rheumatology European Society (PReS) i Madrid. I studien behandlades patienter med makrofagaktiverande syndrom (MAS), en komplikation vid systemisk juvenil idiopatisk artrit (sJIA), med emapalumab. MAS är också en form av sekundär hemofagocytisk lymfohistiocytos (HLH).

Samtliga patienter som behandlades med emapalumab fick ett komplett behandlingssvar. Behandling med emapalumab ledde till en snabb neutralisering av Interferon-gamma (IFN-γ). Dessutom uppvisade emapalumab en gynnsam säkerhetsprofil.¹

Emapalumab har i tidigare studier visats ge snabba och bestående behandlingssvar hos patienter med primär HLH. Emapalumab är godkänt av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med återkommande eller fortskridande primär HLH, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling

Dessa nya data tilldelades Guld-KOURIR-priset från Paediatric Rheumatology European Society (PReS) under konferensen.

MAS är ett sällsynt, livshotande tillstånd som kännetecknas av okontrollerad hyperinflammation som kan utvecklas från en bakgrund av reumatiska sjukdomar såsom sJIA. Det klassificeras som en sekundär form av HLH och orsakas av överaktivering och expansion av T-celler och makrofager. Den omfattande mängden evidens som nu insamlats pekar på att okontrollerad överproduktion av IFN-γ är en huvudsaklig orsak till hyperinflammation och hypercytokinemi i sjukdomar som MAS och HLH.

"Det är oerhört glädjande att de sex första patienterna som behandlats med emapalumab uppvisat ett fullständigt behandlingssvar, särskilt med tanke på att MAS är en allvarlig och potentiellt dödlig komplikation, och där andra behandlingar misslyckats för alla dessa patienter", sade dr Fabrizio De Benedetti, chef för avdelningen för pediatrik reumatologi och huvudlaboratoriet för reumatologi och inflammation vid barnsjukhuset Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Rom, Italien.

¹ **Emapalumab, an interferon gamma (IFN-γ)-blocking monoclonal antibody, in patients with macrophage activation syndrome (MAS) complicating systemic juvenile idiopathic arthritis (sJIA)**

Fabrizio De Benedetti, Paul Brogan, Alexei Grom, Pierre Quartier Dit Maire, Rayfel Schneider, Kathy De Graaf, Philippe Jacqmin, Maria Ballabio, Cristina de Min

Den nya datan är resultatet av en pågående internationell pilotstudie, i vilken sex MAS-patienter med en historia av SJIA och otillräckligt behandlingssvar med intravenös behandling med glukokortikoider i hög dos fick emapalumab enligt protokollets föreskrivna dosregim.

Emapalumab är en monoklonal antikropp som neutraliserar gammainterferon (IFN- γ), en central cytokin som bidrar till inflammation och vävnadsskada som ses i MAS. Syftet med studien är att bedöma läkemedlets farmakokinetik, effekt och säkerhet för behandling av MAS samt att bekräfta den föreslagna dosregimen.

Datan lyftes fram av dr De Benedetti i en muntlig presentation med titeln "Adults are just grown up children! Discuss" torsdagen den 13 juni. Mer information om presentationen (abstract) finns tillgänglig på EULAR:s webbplats: <http://scientific.sparx-ip.net/archiveeular/?c=a&view=3&item=2019OP0204>

Om makrofagaktiverande syndrom (MAS)

Makrofagaktiverande syndrom (MAS) är en allvarlig komplikation vid reumatiska sjukdomar, mest frekvent är systemisk juvenil idiopatisk artrit (SJIA) – en sällsynt systemisk störning av autoinflammatorisk natur med vanliga kliniska manifestationer såsom hög feber, typiskt övergående hudutslag, artrit, lymfadenopati, hepatomegali och serosit. MAS karakteriseras av feber, hepatomegali, leverfunktionsnedsättning, cytopeni, onormal koagulering och hyperferritinemi, som kan utvecklas till organsvikt och dödsfall. MAS klassificeras som en sekundär form av hemofagocyterande lymfohistiocytos.

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) 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). Läs mer på www.gamifant.com inklusive fullständig forskningsinformation 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 vars avtal nu ersätts med det avtal som kommunicerades den 12 juni 2019, förutsatt erhållande av sedvanliga godkännanden från berörda konkurrensmyndigheter.

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.

För mer information kontakta

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

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