

Nya data för emapalumab vid behandling av makrofagaktiverande syndrom presenteras på ACR-konferensen

Sobi® (STO: SOBI) meddelade idag att ny forskning som visar effekten av emapalumab hos patienter med makrofagaktiverande syndrom (MAS) vid Stills sjukdom, inklusive systemisk juvenil idiopatisk artrit (sJIA) och vuxendebuterande Stills sjukdom (AOSD), som svarat otillräckligt på höga doser glukokortikoider (GC) kommer att presenteras vid American College of Rheumatology (ACR) Convergence-konferens i Washington D.C. Resultaten har sammanställts från två öppna, enarmade interventionsstudier, fas 3-studien NI-0501-14 [EMERALD; [NCT05001737](#)] och NI-0501-06 [[NCT03311854](#)] som inkluderade 39 patienter med MAS.

Viktiga resultat:

- **Komplett respons vid vecka 8:** Vid vecka 8 uppnådde 21 patienter (53,8%) komplett respons (95% konfidensintervall (KI): 37,2–69,9%).
- **Komplett respons vid någon tidpunkt:** 33 patienter (85%) uppnådde komplett respons någon gång under studierna.
- **Nedtrappning av glukokortikoider:** Den genomsnittliga veckodosen av glukokortikoider minskades med 70,1% efter 2 veckors behandling. Vid vecka 8 hade glukokortikoiderna trappats ned till en kliniskt meningsfull dos om ≤ 1 mg/kg/dag hos 28 patienter (72%) och till $\leq 0,5$ mg/kg/dag hos 17 patienter (44%).
- **Säkerhet:** Inga nya säkerhetsproblem identifierades under studierna.

"MAS vid Stills sjukdom är ett allvarligt tillstånd som kännetecknas av intensiv hyperinflammation och multipel organsvikt. De drabbade, inklusive små barn, får ofta hög feber, lever- och mjältförstoring, allvarlig cytopeni och neurologiska symtom", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of Research & Development and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Resultaten som kommer att presenteras vid ACR tyder på att emapalumab potentiellt kan utgöra ett nytt behandlingsalternativ som erbjuder effektiv kontroll av MAS-symtomen och eventuellt minskar behovet av höga doser glukokortikoider. Detta innebär en viktig utveckling av behandlingslandskapet för MAS."

Ytterligare viktiga resultat:

- **Total respons (OR) vid vecka 8:** 32 patienter (82,4%) uppnådde total respons vid vecka 8. OR observerades redan dag 5, med en mediantid till första OR på 2,3 veckor.
- **Klinisk remission av MAS:** 32 patienter (82,1%) uppnådde klinisk remission av MAS enligt prövarens bedömning under någon tidpunkt, med en mediantid till klinisk remission om 3,3 veckor.
- **Överlevnadsfrekvens:** 37 patienter (94,9%) var vid liv vid vecka 8.

Emapalumab är en monoklonal antikropp som neutraliserar gammainterferon (IFN γ), en betydande cytokin som bidrar till den inflammation och vävnadsskada som ses vid MAS. Syftet med dessa två prospektiva studier är att utvärdera effekten och säkerheten av emapalumab vid kontroll av MAS hos patienter med Stills sjukdom, inklusive sJIA och AOSD, som svarat otillräckligt på höga doser glukokortikoider. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA beviljade emapalumab snabbspårsstatus, fast track, som ett potentiellt terapeutiskt alternativ för patienter med MAS i maj

2024. Sobi planerar att lämna in en kompletterande ansökan om marknadsgodkännande för denna indikation till FDA under 2024.

Resultaten kommer att presenteras på ACR Convergence-konferensen tisdagen den 19 november av Alexei A. Grom, MD, professor i pediatrik, forskningschef vid avdelningen för reumatologi, Cincinnati Children's Hospital Medical Centre. Sessionen har titeln: "Efficacy and Safety of emapalumab in children and adults with macrophage activation syndrome (MAS) in Still's disease: Results from a phase 3 study and a pooled analysis of two prospective trials".

Makrofagaktiverande syndrom (MAS)

Makrofagaktiverande syndrom (MAS) är en allvarlig komplikation till reumatiska sjukdomar, oftast systemisk juvenil idiopatisk artrit (SJIA) – en sällsynt systemisk sjukdom av autoinflammatorisk karaktär med vanliga kliniska manifestationer som dagliga febertoppar, typiska övergående hudutslag, artrit, lymfadenopati, hepatosplenomegali och serosit. MAS kännetecknas av feber, hepatosplenomegali, leverdysfunktion, cytopeni, onormal koagulation och hyperferritinemi, vilket potentiellt kan utvecklas till multipel organsvikt och död. MAS klassificeras som en sekundär form av hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH).

Om emapalumab

Emapalumab (Gamifant®) är en monoklonal anti-gammainterferon (IFN γ) antikropp som binder till och neutraliserar IFN γ . I USA är emapalumab godkänt för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (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 de kliniska fas 2/3-studierna (NCT01818492 och NCT02069899). Gamifant administreras genom intravenös infusion (IV) under en timme två gånger per vecka fram till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT).

Om Sobi®

Sobi® är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta och svåra sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 800 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Intäkterna för 2023 uppgick till 22,1 miljarder SEK. Aktien (STO:Sobi) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com och LinkedIn.

Kontakter

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).