

FDA godkänner Gamifant® (emapalumab-lzsg) som den första behandlingen för vuxna och barn med makrofagaktiverande syndrom vid Stills sjukdom

- *Godkännandet baseras på en poolad analys av våra registreringsgrundande studier EMERALD och NI-0501-06, vilka visar att 54 % av patienterna som behandlades med Gamifant uppnådde fullständig respons vid vecka 8.*

Sobi® (STO: SOBI) meddelar idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har godkänt Gamifant® (emapalumab-lzsg) för behandling av vuxna och barn (inklusive nyfödda) med hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)/makrofagaktiverande syndrom (MAS) vid konstaterad eller misstänkt Stills sjukdom inklusive systemisk juvenil idiopatisk artrit (SJIA), som visat otillräckligt svar på eller intolerans mot glukokortikoider, eller har återkommande MAS.

"Med vår expertis inom primär hemofagocyterande lymfohistiocytos förstår vi vikten av att snabbt hantera MAS för att förbättra resultaten för patienterna", säger Guido Oelkers, vd och koncernchef på Sobi. "Gamifant är redan en etablerad behandling som gör betydande skillnad för patienter med primär HLH, och med detta godkännande gläds vi åt möjligheten att också kunna hjälpa patienter som drabbats av MAS vid Stills sjukdom."

Godkännandet baseras på resultaten av data som sammanställts från två pivotala studier, fas 3-studien ([NCT05001737](#)) och NI-0501-06 ([NCT03311854](#)). 54 procent (21/39) av patienterna uppnådde en fullständig respons vid vecka 8, och 82 procent (32/39) uppnådde klinisk MAS-remission (VAS ≤1 cm) vid vecka 8. Säkerhet och tolerabilitet överensstämde med tidigare kliniska studier. De vanligaste biverkningarna hos patienter med HLH/MAS vid Stills sjukdom (≥20%) var: virusinfektioner, inklusive cytomegalovirusinfektion eller reaktivering, och utslag.

"MAS vid Stills sjukdom är en allvarlig och potentiellt livshotande komplikation som kännetecknas av svår hyperinflammation och i vissa fall multiorgansvikt", säger Alexei A. Grom, MD, professor i pediatrik och forskningsdirektör vid reumatologiska avdelningen på Cincinnati Children's Hospital Medical Center. "Många patienter som lider av MAS – både små barn och vuxna – har stora ouppfyllda medicinska behov. Med Gamifant, som nu är den första FDA-godkända behandlingen för MAS, har vi ett nytt behandlingsalternativ som bidrar till att kontrollera hyperinflammation och minskar behovet av höga doser glukokortikoider."

MAS, en form av HLH, är en allvarlig komplikation vid reumatiska sjukdomar som oftast förekommer vid Stills sjukdom, inklusive systemisk juvenil idiopatisk artrit och vuxendebuterande Stills sjukdom. HLH/MAS är en sällsynt systemisk gammainterferon (INFγ) driven hyperinflammatorisk sjukdom med vanliga kliniska symtom som hög och ihållande feber, förhöjt ferritin, cytopenier, koagulopatier och hepatosplenomegali.

Gamifant är en gammainterferon (INFγ)-blockerande antikropp, den första och enda FDA-godkända behandlingen för vuxna och pediatriska patienter (barn inklusive nyfödda) med primär HLH där sjukdomen är refraktär, återkommande eller progressiv, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

Godkänd indikation för **Gamifant® (emapalumab-lzsg)** i USA

För mer information, se den fullständiga [förskrivningsinformationen för Gamifant](#).

Om Makrofagaktiverande syndrom (MAS)

Makrofagaktiverande syndrom (MAS) är en allvarlig komplikation till reumatiska sjukdomar och förekommer oftast vid Stills sjukdom, inklusive 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, cytopenier, onormal koagulation och hyperferritinemi, vilket potentiellt kan leda till multipel organsvikt och död. MAS klassificeras som en sekundär form av hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH).

Om Gamifant® (emapalumab-lzsg)

Gamifant® (emapalumab-lzsg) är den enda godkända monoklonala anti-gammainterferon (IFN γ) antikroppen. Gamifant verkar genom att binda till och neutralisera IFN γ . När IFN γ utsöndras på ett okontrollerat sätt uppstår hyperinflammation i kroppen. Gamifant ska administreras genom intravenös infusion under en timme.

Gamifant är godkänt i USA för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH) med refraktär, återkommande eller progressiv sjukdom, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

Gamifant är också godkänt i USA för behandling av vuxna och barn (inklusive nyfödda) med hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)/makrofagaktiverande syndrom (MAS) vid konstaterad eller misstänkt Stills sjukdom som visat otillräckligt svar på eller intolerans mot glukokortikoider, eller har återkommande MAS.

Om Sobi®

Sobi är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande innovationer och ger personer som lever med sällsynta sjukdomar en bättre vardag. Sobi har cirka 1 900 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. För 2024 uppgick intäkterna till 26 miljarder SEK. Sobis aktie (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](#).

Denna information är sådan information som Sobi är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 28 juni 2025 kl. 01.00 CEST.

Gerard Tobin
Head of Investor Relations