

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 24 oktober 2025



Sobi presenterar nya data om sällsynta inflammatoriska tillstånd vid ACR 2025

Sobi® (STO: SOBI), ett globalt biofarmabolag inriktat på att göra innovativa behandlingar tillgängliga för patienter med sällsynta sjukdomar, kommer att presentera nya data från sin immunologiportfölj på den årliga ACR-kongressen, American College of Rheumatology Convergence 2025, i Chicago 24–29 oktober. Sobi presenterar totalt 15 vetenskapliga abstract, varav sex muntliga presentationer med nya kliniska data från avslutade och pågående studier med NASP, pacritinib och emapalumab-lzsg.

"De data Sobi presenterar tydliggör den specifika kliniska nyttan av emapalumab-lzsg för behandling av MAS vid Stills sjukdom, potentialen hos pacritinib vid VEXAS-syndrom, samt potentialen hos NASP att i grunden förändra behandlingen för okontrollerad gikt. Resultaten visar på hur styrkan i vår portfölj banar vägen för att förbättra behandlingen av komplexa och sällsynta inflammatoriska sjukdomar, ett område med trängande behov av framsteg," sade Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs, och Chief Medical Officer på Sobi.

Sammanfattning av samtliga studiedata Sobi kommer att presentera vid ACR 2025:

(Tider anges i amerikansk centraltid, CT)

NASP	
Nanoencapsulated Sirolimus plus Pegadricase (NASP) Reduced Disease Burden in Patients with Uncontrolled Gout: Results from the Phase 3 DISSOLVE Trials Presenting Author: Puja P. Khanna, MD, MPH, Division of Rheumatology, University of Michigan, Ann Arbor, MI	Muntlig presentation Session: Abstract: Metabolic & Crystal Arthropathies – Basic & Clinical Science Datum: tisdag 28 oktober Sessiontid: 1:00 PM - 2:30 PM Presentationtid: 1:30 PM - 1:45 PM
Nanoencapsulated Sirolimus plus Pegadricase (NASP) Demonstrates a Reduction in Gout Flares: Results from the Phase 3 DISSOLVE Studies*) Presenting Author: Angelo Gaffo, MD, Division of Rheumatology and Clinical Immunology, University of Alabama, Birmingham, AL	Muntlig presentation Session: Abstract: Metabolic & Crystal Arthropathies – Basic & Clinical Science Datum: tisdag 28 oktober Sessiontid: 1:00 PM - 2:30 PM Presentationtid: 1:45 PM - 2:00 PM
Nanoencapsulated Sirolimus plus Pegadricase (NASP) Demonstrates Long Term Efficacy and Safety in Patients with Uncontrolled Gout: Results from the 24-week Double-blind Extension of the Phase 3 DISSOLVE I Study Presenting Author: Alan Kivitz, MD, Altoona Center for Clinical Research, Duncansville, PA	Posterpresentation Session: Metabolic & Crystal Arthropathies – Basic & Clinical Science Poster I Datum: måndag 27 oktober Presentationtid: 10:30 AM - 12:30 PM

Characterisation of Infusion Reactions Within 1 Hour of Treatment with Nanoencapsulated Sirolimus Plus Pegadricase (NASP): Pooled Results from the Phase 3 DISSOLVE I and DISSOLVE II Trials Presenting Author: <i>Herbert S.B. Baraf, MD, FACP, MACR, The Center for Rheumatology and Bone Research, Wheaton, MD</i>	Posterpresentation Session: Metabolic & Crystal Arthropathies – Basic & Clinical Science Poster II Datum: tisdag 28 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
Reduction in Tophi Observed in Patients with Uncontrolled Gout Treated with NASP: Results from Phase 3 DISSOLVE Studies* Presenting Author: <i>Herbert S.B. Baraf, MD, FACP, MACR, The Center for Rheumatology and Bone Research, Wheaton, MD</i>	Posterpresentation Session: Poster Session C, (1990–2014) Metabolic & Crystal Arthropathies – Basic & Clinical Science Poster II Datum: tisdag 28 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
Patient and Caregiver Perspectives on the Burden of Disease in Uncontrolled Gout: A Cross-Sectional Survey Study Presenting Author: <i>Angelo Gaffo, MD, Division of Rheumatology and Clinical Immunology, University of Alabama, Birmingham, AL</i>	Posterpresentation Session: Patient Outcomes, Preferences, & Attitudes Poster II Datum: måndag 27 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
A Real-World Survey on Physicians' Perspectives of Uncontrolled Gout and Gout Management Practices Presenting Author: <i>John Botson, MD, RPh,CCD, Orthopedic Physicians, Anchorage, AK</i>	Posterpresentation Session: Health Services Research Poster III Datum: tisdag 28 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
The Care Pathway and Treatment Patterns in Patients with Uncontrolled Gout: A Real-World Survey of Physicians in the United States Presenting Author: <i>John Albert, MD, Rheumatic Disease Center, Glendale, WI</i>	Posterpresentation Session: Health Services Research Poster II Datum: måndag 27 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
Management of Uncontrolled Gout Among Rheumatologists: Findings from a Medical Chart Audit Presenting Author: <i>Hyon Choi, MD, MPH, DrPH, Massachusetts General Hospital, Boston, MA</i>	Posterpresentation Session: ARP Posters I Datum: tisdag 28 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
Gamifant (emapalumab-lzsg)	

Baseline Pharmacodynamic Markers and Response to emapalumab in Children and Adults with Macrophage Activation Syndrome (MAS) in Still's Disease: Results from a Pooled Analysis of Two Prospective Trials Presenting Author: <i>Ed Behrens, MD, Chief, Division of Rheumatology, Children's Hospital of Philadelphia</i>	Muntlig presentation Session: Abstract: Miscellaneous Rheumatic & Inflammatory Diseases I: Focus on Auto-Inflammatory Diseases Datum: söndag 26 oktober Sessionstid: 1:00 PM - 2:30 PM Presentationstid: 1:45 PM - 2:00 PM
Emapalumab Treatment for Patients with Differing Presentations of Macrophage Activation Syndrome (MAS) Secondary to Still's Disease: Results from a Pooled Analysis of Two Prospective Trials Presenting Author: <i>Alexei Grom, MD, Research Director, Division of Rheumatology, Cincinnati Children's Hospital</i>	Muntlig presentation Session: Abstract: Pediatric Rheumatology – Clinical I Datum: måndag 27 oktober Sessionstid: 1:00 PM - 2:30 PM Presentationstid: 1:45 PM - 2:00 PM
Economic Burden of Macrophage Activation Syndrome (MAS) in Patients with Still's Disease (Systemic Juvenile Idiopathic Arthritis (sJIA) and Adult-onset Still's Disease (AOSD): Analysis of a US National Administrative Claims Database Presenting Author: <i>Michael Marrone, Director of Epidemiology and Biostatistics, Sobi</i>	Posterpresentation Session: Health Services Research Poster III Datum: tisdag 28 oktober Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM
Vonjo (pacritinib)	
Development of a Disease Activity Index for the Assessment of VEXAS Syndrome (VEXAS-DAI)* Presenting Author: <i>Dr. Matthew J. Koster, Assistant Professor of Medicine, Mayo Clinic Rochester</i>	Muntlig presentation Session: Abstract: Miscellaneous Rheumatic & Inflammatory Diseases I: Focus on Auto-Inflammatory Diseases Datum: söndag 26 oktober Sessionstid: 1:00 PM - 2:30 PM Presentationstid: 1:00 PM - 1:15 PM
PAXIS: A Randomised, Double-Blind, Placebo-Controlled, Dose Finding Phase 2 Study (Part 1) Followed by an Open-Label Period (Part 2) to Assess the Efficacy and Safety of Pacritinib in Patients with VEXAS Syndrome* Presenting Author: <i>Dr. David B. Beck, MD, PhD, Division of Rheumatology, NYU Langone</i>	Muntlig presentation Session: Abstract: Miscellaneous Rheumatic & Inflammatory Diseases III: End Organ Focus on Heart, Lung and Eye Datum: onsdag 29 oktober Sessionstid: 11:30 AM - 1:00 PM Presentationstid: 11:30 AM - 11:45 AM

Development of a Consensus Definition of VEXAS Flare for Use in Clinical Research*

Presenting Author: Dr. Marcela A. Ferrada, MD,
Clinical Associate Professor, University of
Maryland School of Medicine

Posterpresentation

Session: Miscellaneous Rheumatic &
Inflammatory Diseases Poster I

Datum: söndag 26 oktober

Presentationstid: 10:30 AM - 12:30 PM

***Data som presenterats tidigare**

Om NASP

NASP är ett nytt läkemedel under utveckling med syfte att minska uratnivåerna i serum (sUA) hos personer som lever med okontrollerad gikt. Det kan potentiellt minska skadliga ansamlingar av urat i vävnaderna. Dessa kan, om de lämnas obehandlade, leda till funktionsnedsättande giktattacker och leddeformation. NASP administreras var fjärde vecka som en sekventiell, tvåkomponents infusionsbehandling bestående av tolerogen nanoencapsulated sirolimus (NAS) som minskar bildningen av anti-läkemedelsantikroppar (ADAs) och ett urikaseenzym, pegadrikas (P), som minskar urinsyra i serum. Anti-läkemedels antikroppar, ADAs, utvecklas på grund av ett oönskat immunsvär mot biologiska läkemedel, vilket kan minska behandlingens effektivitet och tolerabilitet. Detta är ett kvarstående problem för många behandlingsmetoder och sjukdomstillstånd, inklusive okontrollerad gikt.

Om okontrollerad gikt

Gikt är den vanligaste formen av inflammatorisk artrit och över 8,3 miljoner människor i USA har fått diagnosen. Gikt orsakas av höga nivåer urinsyra i kroppen som ansamlas runt lederna och andra vävnader vilket kan leda till akuta attacker med intensiv smärta. Cirka 200 000 personer i USA lider av okontrollerad gikt, med uratnivåer i serum (sUA) om över 6 mg/dL trots behandling med orala uratsänkande behandlingar. Detta leder till funktionsnedsättande attacker och tofi. Förhöjda uratnivåer i serum har också förknippats med sjukdomar i hjärta, kärlsystem, metabolism, njure och leder.

Om Gamifant (emapalumab-lzsg)

Gamifant är den enda godkända monoklonala antikroppen riktad mot gammainterferon (IFN γ). Gamifant verkar genom att binda till och neutralisera gammainterferon (IFN γ). När gammainterferon (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 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 Vonjo (pacritinib)

VONJO är en i USA godkänd kinashämmare för behandling av vuxna med primär eller sekundär myelofibros med intermediär eller hög risk (post-polycytemia vera eller postessentiell trombocytemi) och ett trombocytantal under $50 \times 10^9/L$. Denna indikation är godkänd enligt ett villkorat godkännande baserat på minskning av mjältvolym. Fortsatt godkännande för denna indikation förutsätter en bekräftande studie som verifierar och tydliggör den kliniska nyttan.

Om VEXAS



VEXAS-syndrom är en sjukdom som ger upphov till inflammatoriska och hematologiska symtom. Syndromet orsakas av mutationer i blodcellernas UBA1-gen och uppträder senare i livet. Tillståndet är förvärvat och inte genetiskt ärftligt.

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](https://www.linkedin.com/company/sobi).

Kontakter

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