

Nya data för emapalumab som visar behandlingsresultat efter transplantation hos patienter med primär HLH presenterades vid kongressen för Transplantation and Cellular Therapy (TCT)

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) (STO:SOBI) meddelade att nya data från den kliniska fas 2/3-studien av emapalumab-lzsg för behandling av primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) presenterats vid 2019 års kongress för Transplantation and Cellular Therapy (TCT) i Houston i USA, 20–24 februari. Datan avser behandlingsresultat hos patienter med primär HLH som behandlats med emapalumab och gått vidare till hematopoetisk stamcellstransplantation (HSCT).

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. Det man vill uppnå med konventionell HLH-behandling är att få hyperinflammationen under kontroll, oftast med en kombination av steroider och kemoterapi, och att förbereda för stamcellstransplantation (HSCT), vilket är det enda botemedlet.

Emapalumab är en antikropp som blockerar gammainterferon (IFN γ). Emapalumab är godkänd av den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) som Gamifant® för behandling av pediatrika (barn inklusive nyfödda) och vuxna patienter med primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) som inte svarar på behandling, där sjukdomen är återkommande eller fortskridande, eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

”Majoriteten av de svårt sjuka patienterna som behandlats med emapalumab i denna studie kunde förberedas för, genomgå och överleva en stamcellstransplantation. Detta är uppmuntrande resultat med tanke på att mediantiden för överlevnad hos patienter med primär HLH är mindre än två månader utan behandling, och många svarar inte på konventionell behandling”, säger Michael Jordan, huvudprövare i den kliniska studien med emapalumab och M.D., läkare-forskare vid Division of Bone Marrow Transplantation and Immune Deficiency Cincinnati Children’s Hospital Medical Center, HLH Center of Excellence.

”Det är glädjande att vi fortsätter att se data som stödjer de lovande resultaten för emapalumab vid primär HLH.”, säger Cristina de Min, Chief Medical Officer på Novimmune och Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

I fas 2/3-studien kunde merparten av patienterna som behandlats med emapalumab gå vidare till HSCT: 64,7 procent av alla patienter som behandlats och 70,4 procent av de patienter som inte svarat på tidigare konventionell HLH-behandling. Mediantiden till transplantation var 100 dagar för hela patientgruppen och 83 dagar för den grupp som inte svarat på tidigare konventionell HLH-behandling. Stamcellerna togs i första hand från benmärgen, i andra hand från perifert blod och i tredje från navelsträngsblod. Merparten av patienterna genomgick framgångsrik engraftment, d.v.s. kroppen accepterade de transplanterade stamcellerna och påbörjade produktion av nya vita blodkroppar (86,4 procent av hela gruppen och 89,5 procent av gruppen som inte svarat på tidigare konventionell HLH-behandling).

Av den totala patientgruppen överlevde 90,9 procent stamcellstransplantation (post-HSCT). Av gruppen som inte svarat på tidigare konventionell HLH-behandling var överlevnad efter transplantation 89,5 procent.

Resultaten presenterades av Dr Jordan, den 24 februari, i en sent tillagd vetenskaplig artikel med titeln *‘Post-Transplant Outcomes of Children with Primary Hemophagocytic Lymphohistiocytosis Given Emapalumab to Control Disease’* (utfall efter transplantation hos barn som behandlats med emapalumab för att kontrollera primär hemofagocyterande lymfocytos).

I den globala öppna kliniska fas 2/3-singelarmstudien av multicentertyp deltog 34 patienter med diagnosen primär HLH. Av de 34 patienter som deltog hade 27 inte svarat på tidigare konventionell HLH-behandling. Datasamlingen avslutades den 20 juli 2017.

Mer information om artikeln finns på TCT:s hemsida: <https://tct.confex.com/tct/2019/meetingapp.cgi/Paper/13801>

Om primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH)

Primär hemofagocyterande lymfocytos (HLH) är en 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 omfattar 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 lymfocytos (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 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 SA

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

För mer information, vänligen kontakta:

Sobi

Media relations/Investor relations

Linda Holmström, Senior Communications/IR
Manager

+46 708 734 095

linda.holmstrom@sobi.com

Paula Treutiger, Head of Communications & IR

+46 733 666 599

paula.treutiger@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Senior IR Advisor

+1 347 224 0819, +1 212 579
0506

jorgen.winroth@sobi.com

Novimmune

Chief Business Officer

Adrian Mills

+41 791 956 162

amills@novimmune.com

SOBI

[sällsynta sjukdomar](http://sällsynta.sjukdomar)

[emapalumab](#)
[primär hemofagocyterande lymfocytos](#)
[HLH](#)

Related files:

[wkr0006-3218415.pdf](#)

Michael Jordan, huvudprövare i den kliniska studien med emapalumab och M.D., läkare-forskare vid Division of Bone Marrow Transplantation and Immune Deficiency Cincinnati Children's Hospital Medical Center, HLH Center of Excellence Majoriteten av de svårt sjuka patienterna som behandlats med emapalumab i denna studie kunde förberedas för, genomgå och överleva en stamcellstransplantation