

Sobi meddelar att FDA accepterat att påbörja granskning av tilläggsansökan för Gamifant® (emapalumab-lzsg)

Sobi® meddelar idag att amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har validerat tilläggsansökan (sBLA) för Gamifant® (emapalumab-lzsg) vid behandling av vuxna och barn med hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH)/makrofagaktiverande syndrom (MAS) vid Stills sjukdom som visat otillräckligt svar eller intolerans mot glukokortikoider, eller har återkommande MAS. Ansökan har beviljats prioriterad granskning med ett PDUFA-datum den 27 juni 2025.

HLH/MAS, även känt som sekundär HLH, är en allvarlig komplikation till reumatiska sjukdomar, oftast Stills sjukdom inklusive systemisk juvenil idiopatisk artrit (sJIA) och vuxendebuterande Stills sjukdom. HLH/MAS är en sällsynt autoinflammatorisk systemsjukdom med vanliga kliniska symtom som hög och ihållande feber, förhöjt ferritin, cytopeni, koagulopatier och hepatosplenomegali.

"HLH/MAS vid Stills sjukdom är en allvarlig och potentiellt dödlig komplikation där patienter kan drabbas av intensiv hyperinflammation och även multipel organsvikt", säger Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi. "Det finns idag ingen godkänd behandling för HLH/MAS, och Gamifant® (emapalumab-lzsg) verkar på en viktig drivkraft till hyperinflammation, vilket kan bidra till att minska behovet av höga doser glukokortikoider hos dessa patienter."

Ansökan baseras på resultat av [data som sammanställts från två studier](#) med totalt 39 patienter, EMERALD ([NCT05001737](#)) och NI-0501-06 ([NCT03311854](#)). Femtiotre procent av patienterna hade ett fullständigt svar vid vecka 8 och 85% hade ett fullständigt svar vid någon tidpunkt under studierna. Veckodoserna av glukokortikoider minskade med 70,1% efter 2 veckors behandling.

Gamifant® (emapalumab-lzsg) en monoklonal antikropp som binder och neutraliserar gammainterferon (IFN γ), godkändes av FDA 2018 för behandling av vuxna och pediatrika patienter (barn inklusive nyfödda) med primär HLH där sjukdomen är refraktär, återkommande eller progressiv eller vid intolerans mot konventionell HLH-behandling.

Om Makrofagaktiverande syndrom (MAS)

Makrofagaktiverande syndrom (MAS) är en allvarlig komplikation till reumatiska sjukdomar, oftast systemisk juvenil idiopatisk artrit (sJIA) och vuxendebuterande Stills sjukdom (AOSD) – 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 form av hemofagocyterande lymfohistiocytos (HLH).

Om Gamifant® (emapalumab-lzsg)

Gamifant® (emapalumab-lzsg) är en monoklonal anti-gammainterferon (IFN γ) antikropp som binder till och neutraliserar IFN γ . I USA är Gamifant® (emapalumab-lzsg) godkänt 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. 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® (emapalumab-lzsg) ska 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 2024 uppgick till 26 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](#).