

PRESS RELEASE

Stockholm, Schweden, and Genf, Schweiz, 20. November 2018

FDA erteilt Marktzulassung für Gamifant® (Emapalumab) – die erste und einzige Behandlung, die für die primäre hämophagozytische Lymphohistiozytose (HLH) zugelassen ist

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO: SOBI), ein internationales biopharmazeutisches Unternehmen, das auf seltene Krankheiten spezialisiert ist, und das Schweizer Biotech-Unternehmen Novimmune AG geben heute bekannt, dass die amerikanische Food and Drug Administration (FDA) Gamifant® (emapalumab-lzsg), ein Interferon-Gamma (IFN γ) blockierender Antikörper, zur Behandlung von primärer Hämophagozytischer Lymphohistiozytose (HLH) zugelassen hat. Diese Zulassung gilt für die Behandlung von pädiatrischen (neugeborene und ältere Kinder) und erwachsenen Patienten mit refraktärer, wiederkehrender oder fortschreitender Erkrankung oder einer Intoleranz gegenüber herkömmlichen HLH-Therapien. Primäre HLH ist ein äusserst seltenes Hyperinflammations-Syndrom mit hoher Morbidität und Mortalität, für das es bisher kein zugelassenes Medikament gab. Dank dem gezielten Wirkmechanismus von Gamifant stellt die Zulassung einen grossen Fortschritt in der Behandlung dieser Patienten dar.

"Die FDA-Zulassung von Gamifant ist ein Ausdruck der Vision von Sobi, Patienten mit hohem medizinischen Bedarf transformative Behandlungen zu ermöglichen." sagt Guido Oelkers, Präsident und CEO von Sobi. "Zusammen mit Kineret und der kürzlichen Übernahme der US-Rechte an Synagis® wird Gamifant die Immunologie-Franchise von Sobi deutlich verstärken. Wir danken Novimmune für die ausgezeichnete Arbeit bei der Entwicklung und Zulassung dieses wichtigen Medikaments. Sobi wird sich nun darauf konzentrieren, eine erfolgreiche Kommerzialisierung von Gamifant zum Nutzen von HLH-Patienten in den USA sicherzustellen."

Die FDA-Zulassung basiert auf Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2/3-Studie, an der Patienten mit primärer HLH teilnahmen. Der primäre Endpunkt der Studie wurde sowohl bei Patienten, deren Krankheit während der konventionellen HLH-Therapie refraktär, rezidivierend oder fortschreitend war, als auch bei Patienten, die gegenüber der konventionellen HLH-Therapie intolerant waren, erreicht, wobei ein klinisch bedeutender und statistisch signifikanter Anteil der Patienten am Ende der Behandlung eine insgesamt gesehene positive Reaktion auf die Therapie zeigten. Darüber hinaus erhielten 70% der Patienten danach eine hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSZT). Die häufigsten Nebenwirkungen ($\geq 20\%$) waren Infektionen, Bluthochdruck, infusionsbedingte Reaktionen und hohes Fieber. Die Ergebnisse der Zulassungsstudie werden auf einem der nächsten wissenschaftlichen Kongresse präsentiert werden. "Primäre HLH ist eine sehr seltene Krankheit mit hoher Morbidität und Mortalität. Die Zulassung von

Gamifant als erste Behandlung der primären HLH ist ein wichtiger Schritt auf unserem Weg, den betroffenen Patienten zu helfen.", sagt Milan Zdravkovic, Chief Medical Officer und Head of Research & Development bei Sobi.

"Wir freuen uns sehr, dass wir Patienten mit primärer HLH ein neues Medikament zur Verfügung stellen können. Gamifant ist das erste Arzneimittel, das speziell darauf abzielt, IFN γ zu neutralisieren. Unser Dank gilt den Patienten, Familien und medizinischen Fachpersonen, die an der klinischen Studie mit Emapalumab teilgenommen haben. Ihr Einsatz hat dazu beigetragen, die heutige Zulassung Wirklichkeit werden zu lassen. Auch möchten wir uns bei der FDA für Ihre kontinuierliche Unterstützung bei der Entwicklung von Emapalumab bedanken. Aufgrund der klinischen Validierung des neuen Targets sind weitere klinische Studien mit Emapalumab bei Krankheiten, für die IFN γ als pathogen betrachtet wird, entweder im Gange oder geplant.", sagt Cristina de Min, Chief Medical Officer bei Novimmune.

"HLH ist eine Störung der Immunregulierung, bei der viele Zytokine in ihrer Funktion gestört sind, aber Interferon-Gamma offenbar eine entscheidende Rolle spielt. Die Schlüsselrolle dieses Zytokins bei HLH ist schon seit geraumer Zeit bekannt. Bis zur Zulassung von Emapalumab gab es jedoch kein Medikament, das dieses Ziel spezifisch treffen könnte", sagte Dr. Michael Jordan, Arzt und Wissenschaftler in der Abteilung für Knochenmarktransplantation und Immunschwäche am Cincinnati Children's Hospital Medical Center HLH Center of Excellence und Primary Investigator in der klinischen Studie von Emapalumab. "Emapalumab stellt einen völlig neuen Ansatz zur Behandlung von primärer HLH dar und hilft diesen sehr kranken Patienten, eine hämatopoetische Stammzelltransplantation zu erhalten."

In den USA wurde Gamifant von der FDA unter Priority Review geprüft und erhielt den Status „Orphan Drug“, „Breakthrough Therapy“ und eine „Rare Pediatric Disease Designation“. Novimmune ist nach der Zulassung berechtigt, einen Priority Review Voucher (PRV) zu erhalten. In Europa wurde Emapalumab im August 2018 von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) zur Prüfung angenommen. Emapalumab wurde von der EMA die Orphan Designation und der Priority Medicine (PRIME) Status verliehen.

Gamifant wurde von Novimmune entwickelt und bei der FDA zur Zulassung eingereicht. Sobi erwarb die globalen Rechte an Gamifant von Novimmune durch eine im Juli 2018 bekanntgegebene exklusive Lizenzvereinbarung.

Über die primäre hämophagozytische Lymphohistiozytose (pHLH)

Die primäre hämophagozytische Lymphohistiozytose (pHLH) ist ein extrem seltenes, schnell fortschreitendes und oft tödliches Hyperinflammations-Syndrom, bei dem eine massive Überproduktion von Interferon-Gamma (IFN γ) die Hyperaktivierung des Immunsystems antreibt, was letztendlich zu Organversagen führt. Es wird geschätzt, dass in den USA jedes Jahr weniger als 100 Fälle von pHLH diagnostiziert werden. Die Diagnose ist eine Herausforderung aufgrund der Variabilität der Symptome wie Fieber,

Schwellungen der Leber und Milz, stark reduzierte Werte für rote und weiße Blutkörperchen, Blutungsstörungen, Infektionen, neurologische Symptome, Organfehlfunktionen und Organversagen. Primäre HLH kann schnell tödlich werden, wenn sie unbehandelt bleibt, wobei die mittlere Überlebenszeit weniger als zwei Monate beträgt. Das unmittelbare Ziel der Behandlung ist deshalb, die Hyperinflammation schnell zu kontrollieren und sich auf die Transplantation hämatopoetischer Stammzellen vorzubereiten. Die derzeitige konventionelle Behandlung vor der Transplantation umfasst Steroide und Chemotherapie, die nicht speziell zur Behandlung von pHLH zugelassen sind.

Über Gamifant™ (Emapalumab)

Emapalumab ist ein vollständig humaner monoklonaler Antikörper (mAB), der Interferongamma (IFN γ) neutralisiert. In den USA ist Gamifant (Emapalumab) sowohl für pädiatrische (neugeborene und Ältere) als auch für erwachsene Patienten mit primärer hämophagozytischer Lymphohistiozytose mit refraktärer, rezidivierender oder fortschreitender Erkrankung oder Intoleranz gegenüber der Standardtherapie indiziert. Gamifant ist das erste und einzige Medikament, das in den USA für primäres HLH zugelassen ist, ein äusserst seltenes Syndrom von Hyperinflammation, welches normalerweise innerhalb des ersten Lebensjahres auftritt und ohne Behandlung schnell tödlich enden kann. Es ist indiziert, dass Gamifant durch intravenöse Infusion über eine Stunde zweimal pro Woche bis zur hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSCT) verabreicht wird. Besuchen Sie www.gamifant.com für weitere Informationen, einschließlich vollständiger US-Verschreibungsinformationen. [Die FDA-Zulassung basiert auf Daten aus der zulassungsrelevanten Phase 2/3-Studie \(NCT01818492\).](#)

Über Sobi™

Sobi™ ist ein internationales biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf seltene Krankheiten spezialisiert hat. Unsere Vision ist es, als weltweit führendes Unternehmen für den Zugang zu innovativen Behandlungen anerkannt zu werden, die das Leben von Menschen mit seltenen Krankheiten signifikant verändern. Das Produktportfolio konzentriert sich in erster Linie auf Behandlungen in den Bereichen Hämophilie und Specialty Care. Bei der Entwicklung und Vermarktung von Specialty Care-Produkten sind Partnerschaften mit anderen Unternehmen ein wesentliches Element unserer Strategie. Sobi hat in der Biotechnologie Pionierarbeit geleistet und verfügt über erstklassige Fähigkeiten in der Proteinbiochemie und der Herstellung von Biologika. Im Jahr 2017 erzielte Sobi einen Gesamtumsatz von 6,5 Milliarden SEK und beschäftigte rund 850 Mitarbeiter. Die Aktie (STO:SObi) ist an der Nasdaq Stockholm notiert. Weitere Informationen finden Sie unter www.sobi.com.

Über Novimmune

Novimmune AG ist ein privat geführtes, schweizerisches biopharmazeutisches Unternehmen, das auf die Erforschung und Entwicklung von Antikörper-basierten Medikamenten zur gezielten Behandlung von Entzündungskrankheiten, immunologischen Erkrankungen und Krebs spezialisiert ist. Novimmune wurde 1998 vom renommierten Immunologen Professor Bernard Mach gegründet und beschäftigt an zwei Standorten in Genf und Basel (Schweiz) mehr als 150 Mitarbeitende. Seit seiner Gründung hat Novimmune eine bedeutende Forschungs- und Entwicklungspipeline von Medikamentenkandidaten aufgebaut, von denen Emapalumab am weitesten fortgeschritten ist. Das Entwicklungsprogramm von Gamifant wurde durch einen FP7-Zuschuss der Europäischen Kommission (FIGHT HLH) unterstützt. Novimmune hat auch eine bispezifische Plattform zur Generierung von Antikörpern entwickelt, die darauf ausgelegt ist.

Weitere Informationen

Sobi:

Media relations

Charlotte af Klercker, Head of Communications (acting)
+46 707 297 327

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations
+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

charlotte.afklercker@sobi.com

jorgen.winroth@sobi.com

Novimmune

Chief Business Officer

Adrian Mills

+41 791956162

amills@novimmune.com