

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Stockholm, Suède, et Genève, Suisse, le 20 novembre 2018

La FDA approuve Gamifant® (emapalumab), premier et unique traitement contre la lymphohistiocytose hémophagocytaire primaire (LHH)

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi™\)](#) (STO : SOBI), entreprise biopharmaceutique internationale spécialisée dans les maladies rares, et [Novimmune SA](#), société Suisse de biotechnologie, ont annoncé aujourd'hui que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis avait approuvé Gamifant® (emapalumab-lzsg), un anticorps bloquant l'interféron gamma (IFN γ) pour le traitement de patients pédiatriques (nouveau-nés et jeunes enfants) ainsi que d'adultes atteints de lymphohistiocytose hémophagocytaire (LHH) primaire et présentant des symptômes réfractaires, récurrents ou évolutifs ou une intolérance à la thérapie LHH classique. La LHH primaire est un syndrome extrêmement rare d'hyperinflammation avec un taux de morbidité et de mortalité élevés, contre lequel il n'existait à ce jour aucun médicament approuvé. Gamifant représente une avancée majeure dans le traitement de ces patients du fait de son mode d'action ciblé.

« L'approbation de Gamifant par la FDA concrétise la vision de Sobi consistant à offrir un traitement innovant aux patients ayant des besoins médicaux élevés. Gamifant renforcera de manière significative le portefeuille de Sobi en matière d'immunologie, tout comme Kineret et Synagis®, acquis très récemment pour les États Unis. Nous tenons à souligner l'excellent travail accompli par Novimmune pour mettre au point et faire approuver ce traitement majeur. Sobi s'attachera désormais à assurer le succès de la commercialisation de Gamifant dans l'intérêt des patients américains atteints de LHH.», a déclaré Guido Oelkers, président et directeur général de Sobi.

L'approbation de Gamifant par la FDA est basée sur les données de l'étude pivot de phase 2/3 portant sur patients atteints de LHH primaire. Le critère principal de l'étude a été atteint avec une proportion cliniquement et statistiquement significative sur des patients présentant des symptômes réfractaires, récurrents ou évolutifs au cours d'une thérapie LHH classique ou qui étaient intolérants à cette thérapie. Cela démontrant une réponse globale positive en fin de traitement. De plus, 70 % des patients ont pu bénéficier d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH). Les effets indésirables les plus fréquemment observés ($\geq 20\%$) étaient les suivants : infections, hypertension, réactions liées aux perfusions et fièvre. Les résultats de l'étude pivot seront présentés lors de prochains congrès internationaux.

Milan Zdravkovic, directeur des Affaires médicales et responsable Recherche et du Développement chez Sobi a déclaré : « La LHH primaire est une maladie très rare, associée à une morbidité et une mortalité importantes. L'approbation de Gamifant comme premier traitement de la LHH primaire constitue une étape significative dans notre mission de venir en aide à ces patients. »

« Nous sommes extrêmement heureux de mettre un nouveau médicament à la disposition des patients atteints de LHH primaire », a déclaré Cristina de Min, directrice des Affaires médicales chez Novimmune. « Gamifant est le premier médicament spécifiquement conçu pour neutraliser l'IFN γ . Nous remercions chaleureusement les patients, leurs familles et les personnels soignants qui ont participé à l'étude clinique emapalumab ainsi que ceux dont les efforts ont contribué à l'obtention de cette approbation aujourd'hui. Nous voudrions aussi remercier la FDA pour leur soutien continu pendant le développement d'emapalumab. Sur la base de la validation clinique de ce nouvel objectif, des études cliniques complémentaires avec emapalumab sont en cours ou prévues pour des maladies où l'IFN γ joue un rôle pathogène. »

« La LHH est un trouble de l'immunorégulation, dans lequel de nombreuses cytokines sont perturbées, bien que l'interféron gamma semble jouer un rôle crucial. Alors que nous comprenions depuis longtemps le rôle central de cette cytokine pour la LHH, nous ne disposions pas, avant l'approbation d'emapalumab, d'un médicament atteignant spécifiquement cette cible », a déclaré le Docteur Michael Jordan, médecin et scientifique au service de Greffes de moelle osseuse et immunodéficience du Cincinnati Children's Hospital Medical Center, centre d'excellence LHH, et investigateur principal de l'essai clinique sur emapalumab. « Emapalumab représente une approche entièrement nouvelle dans le traitement de la LHH primaire et aide ces patients très graves à avoir accès à une greffe de cellules souches hématopoïétiques. »

Aux États-Unis, Gamifant, qui a bénéficié d'un examen prioritaire, s'est vu octroyer par la FDA les désignations de médicament orphelin (Orphan Drug), de percée thérapeutique (Breakthrough Therapy) et de médicament destiné à une maladie pédiatrique rare (Rare Pediatric Disease). Du fait de cette approbation, Novimmune dispose d'un droit d'accès à un examen prioritaire (Priority Review Voucher – PRV). En Europe, l'Agence européenne des médicaments (EMA), qui a accepté d'évaluer emapalumab en août 2018, lui a accordé la désignation orpheline et le statut de PRiority MEdicine (PRIME).

Gamifant a été développé et soumis pour approbation à la FDA par Novimmune. Sobi a acquis les droits mondiaux de Gamifant auprès de Novimmune en vertu d'un accord de licence exclusif annoncé en juillet 2018.

À propos de la lymphohistiocytose hémophagocytaire primaire (LHH)

La lymphohistiocytose hémophagocytaire primaire (LHH) est un syndrome d'hyperinflammation extrêmement rare, à évolution rapide et souvent fatale, avec une surproduction massive d'interféron gamma (IFN γ) que l'on pense être à l'origine d'une hyperstimulation du système immunitaire, débouchant finalement sur la défaillance d'organes. On estime que moins de 100 cas de LHH primaire sont diagnostiqués chaque année aux États-Unis, chiffre que l'on peut considérer comme inférieur à la réalité. Le diagnostic est difficile en raison de la variabilité des signes et des symptômes, tels que des fièvres, un gonflement du foie et de la rate, une numération extrêmement faible des globules blancs et rouges, des troubles de la coagulation, des infections, des symptômes neurologiques et le dysfonctionnement ou la défaillance d'organes. La LHH primaire peut rapidement devenir fatale faute de traitement, avec une survie médiane inférieure à deux mois. L'objectif immédiat du traitement est de maîtriser rapidement

l'hyperinflammation et de préparer à la greffe de cellules souches hématopoïétiques. Le traitement classique actuel avant greffe comprend des stéroïdes et de la chimiothérapie et n'est pas spécifiquement approuvé pour traiter l'HLH primaire.

À propos de Gamifant® (emapalumab)

Emapalumab est un anticorps monoclonal entièrement humain (AcM) qui neutralise l'interféron gamma (IFN γ). Aux États-Unis, Gamifant (emapalumab) est indiqué pour les patients pédiatriques (nouveau-nés et jeunes enfants) ainsi que les adultes atteints de lymphohistiocytose hémophagocytaire présentant des symptômes réfractaires, récurrents ou évolutifs, ou une intolérance au traitement de référence de la LHH. Gamifant est le premier et unique médicament approuvé aux États-Unis contre la LHH primaire, syndrome extrêmement rare survenant au cours de la première année de vie et pouvant rapidement devenir fatal faute d'être diagnostiqué ou traité. Gamifant est administré par perfusion intraveineuse (IV) pendant une heure, deux fois par semaine, dans l'attente d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH). Pour plus de renseignements, y compris les informations posologiques complètes pour les États-Unis, consultez le site www.gamifant.com. L'approbation de Gamifant par la FDA est basée sur des données de l'étude pivot de phase 2/3 (NCT01818492)

À propos de Sobi™

Sobi™ est une entreprise pharmaceutique internationale spécialisée dans les maladies rares. Nous ambitionnons d'être reconnus comme un leader mondial de l'offre de traitements innovants qui changeront la vie des personnes atteintes de maladies rares. Le portefeuille de produits est principalement axé sur les traitements de l'hémophilie et les soins spécialisés. Un élément clé de notre stratégie consiste à rechercher des partenariats dans le développement et la commercialisation de produits dans le domaine des soins spécialisés. Sobi a fait figure de pionnier en matière de biotechnologie grâce à des compétences de classe mondiale en biochimie des protéines et en fabrication de produits biologiques. En 2017, Sobi a généré un chiffre d'affaires de 6,5 milliards de couronnes suédoises, avec environ 850 collaborateurs. L'action (STO:SOBI) est cotée au Nasdaq de Stockholm. Plus d'informations disponibles sur www.sobi.com.

À propos de Novimmune

Novimmune SA est une entreprise biopharmaceutique suisse privée, spécialisée dans la découverte et le développement d'anticorps thérapeutiques pour le traitement ciblé des maladies inflammatoires, des troubles immunitaires et du cancer. Créée en 1998 par le professeur Bernard Mach, immunologiste réputé, Novimmune emploie plus de 150 collaborateurs sur deux sites en Suisse, à Genève et Bâle. Depuis sa création, Novimmune a constitué un important portefeuille R&D de candidats médicaments, dont emapalumab est le plus avancé. Le programme de développement de Gamifant a été soutenu par une subvention au titre du 7^e PC de la Commission européenne (projet FIGHT HLH). Novimmune a également développé une plate-forme de génération d'anticorps bispécifiques, conçue pour simplifier l'identification, la production et la caractérisation d'anticorps bispécifiques entièrement humains. Plus d'informations disponibles sur www.novimmune.com.

Pour plus d'informations, veuillez contacter

Sobi

Relations médias
Charlotte af Klercker, responsable Communications
(par intérim)
+46 707 297 327
charlotte.afklercker@sobi.com

Relations investisseurs
Jörgen Winroth, vice-président, responsable Relations avec
les investisseurs
+1 347 224 0819, +1 212 579 0506
jorgen.winroth@sobi.com

Novimmune

Directeur des Affaires commerciales
Adrian Mills
+41 791 956 162
amills@novimmune.com