

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 7 juni 2022

Första patienten doserad i fas 3-studien VALIANT med pegcetacoplan vid IC-MPGN och C3G, sällsynta njursjukdomar med stora medicinska behov

Sobi® (STO: SOBI) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) meddelade idag att den första patienten doserats i fas 3-studien VALIANT med pegcetacoplan, en målinriktad terapi mot C3 som utvärderas för primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) och C3-glomerulopati (C3G). Båda är sällsynta och funktionsnedsättande njursjukdomar med liknande underliggande orsaker och utan godkänd behandling.

"Individer med IC-MPGN och C3G upplever en betydande sjukdomsburda eftersom det inte finns någon godkänd behandling för att bromsa eller förhindra sjukdomsförloppet. Dessa sjukdomar leder ofta till njursvikt, med dialys eller njurtransplantation som följd vilket medför ytterligare behandlingsburda", säger Kristen Hood, MSN, RN, executive director för Nephcure Kidney International. "Det är glädjande att Apellis och Sobi utvärderar pegcetacoplan i en fas 3-studie hos patienter från tolv års ålder med primär IC-MPGN eller C3G, inklusive patienter som återinsjuknat efter en transplantation."

Okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunsystem, tros spela en avgörande roll i utvecklingen av IC-MPGN och C3G där överdriven ansamling av C3-nedbrytningsprodukter i njurarna orsakar inflammation och organskador.¹⁻⁴ Idag lever uppskattningsvis upp till 8 000 personer i Europa och 5 000 personer i USA med IC-MPGN eller C3G,⁵ varav cirka hälften drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos.⁶

"Sobi och Apellis är de enda bolagen som aktivt söker att utveckla en behandling mot IC-MPGN, säger Anders Ullman, MD, PhD, Head of Research and Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi ser med glädje att den första patienten nu doserats i denna fas 3-studie vid IC-MPGN och C3G, som båda är sjukdomar med extremt stora medicinska behov. Vårt fokus är att utveckla en meningsfull behandling för patienter som drabbats av dessa allvarliga sjukdomar."

"De positiva fas 2-resultaten med pegcetacoplan vid IC-MPGN och C3G gav stöd att gå vidare till en bekräftande fas 3-studie", säger Jeffrey Eisele, MD, PhD, Chief Development Officer på Apellis. "Det finns ett betydande behov av behandlingar för människor som lever med dessa sällsynta njursjukdomar, och vi tror att pegcetacoplan genom att specifikt rikta sig mot C3 i komplementsystemet kan ha potential att skydda njurfunktionen och bevara patientens livskvalitet."

Om VALIANT-studien

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](#)) är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie avsedd att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos cirka 90 patienter från tolv års ålder med primär IC-MPGN eller C3G. Det är den enda studien som inkluderar såväl patienter med medfödda njursjukdomar som patienter som återinsjuknat efter att ha genomgått en njurtransplantation. Patienterna randomiseras till att få antingen 1080 mg pegcetacoplan eller placebo två gånger i veckan under 26 veckor. Efter den randomiserade och kontrollerade perioden om 26 veckor går patienterna vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare får pegcetacoplan. Studiens primära effektmått är andelen studiedeltagare som vecka 26

uppvisar en minskning av urinprotein/kreatininkvoten (UPCR) om minst 50 procent från baslinjen. UPCR är en viktig indikator för patientens njurfunktion.

Om immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) och C3 glomerulopati (C3G)

IC-MPGN och C3G är sällsynta, funktionsnedsättande njursjukdomar som drabbar uppskattningsvis upp till 8 000 människor i Europa och 5 000 i USA.⁵ Det finns inga godkända behandlingar för sjukdomarna, och symtomen omfattar blod i urinen, mörkt skummande urin på grund av förekomst av äggvita, svullnad, och högt blodtryck.⁷ Cirka hälften av alla personer som lever med IC-MPGN och C3G drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos.⁶ Det finns inga tillgängliga behandlingar som riktar sig mot den underliggande komplementmedierade mekanismen i dessa sjukdomar och som förhindrar förlust av njurfunktionen före eller efter njurtransplantation. Även om IC-MPGN anses vara en distinkt sjukdom från C3G, är den underliggande orsaken och förloppet av de två sjukdomarna anmärkningsvärt lika och inkluderar överaktivering av komplementsystemet, med överdriven ansamling av C3-nedbrytningsprodukter i njurarna som orsakar inflammation och organskador.^{1-4,8}

Om pegcetacoplan vid sällsynta sjukdomar

Pegcetacoplan är en målinriktad behandling mot C3 som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvär. Okontrollerad aktivering av C3 kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Pegcetacoplan utvärderas för flera sällsynta sjukdomar inom hematologi, nefrologi och neurologi. Pegcetacoplan är godkänt som Aspaveli® i EU och Storbritannien för behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. I USA och Saudiarabien är pegcetacoplan godkänt som Empaveli® för behandling av vuxna patienter med PNH. Empaveli är även godkänt i Australien för behandling av vuxna patienter med PNH som har ett otillräckligt svar, eller är intoleranta mot behandling med C5.

Om Sobis och Apellis samarbete

Sobi och Apellis har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, och Apellis har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA samt globala kommersialiseringsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA).

Om Apellis

Apellis Pharmaceuticals, Inc. är ett globalt biofarmaceutiskt företag som genom att främja nydanande vetenskap, kreativitet och medkänsla verkar för att leverera livsförändrande behandlingar. I egenskap av ledare inom komplement introducerade de en första ny klass av komplementmedicin på 15 år genom godkännandet av den första och enda målinriktade behandlingen mot C3. De främjar fortsatt vetenskaplig utveckling av transformativa läkemedel för människor som lever med sällsynta, retinala och neurologiska sjukdomar. För mer information, besök <http://apellis.com> eller följ dem på Twitter och LinkedIn.

Referens:

1. Smith RJH, et al. Nat Rev Nephrol. 2019;15:129-143.
2. Pickering MC, et al. Kidney Int. 2013;84:1079-1089.
3. Cook HT, Pickering MC. J Am Soc Nephrol. 2018;29:9-12.
4. Donadelli et al. Front Immunol. 2018;9:2329.
5. Data on file using literature consensus.
6. C3 glomerulopathy. National Institute of Health, Genetics Home Reference. <https://ghr.nlm.nih.gov/condition/c3-glomerulopathy#resources>. Accessed November 21, 2019.
7. Complement 3 Glomerulopathy (C3G). National Kidney Foundation Website. <https://www.kidney.org/atoz/content/complement-3-glomerulopathy-c3g>. Accessed November 21, 2019.
8. Noris M, Donadelli R, Remuzzi G. Autoimmune abnormalities of the alternative complement pathway in membranoproliferative glomerulonephritis and C3 glomerulopathy. Pediatr Nephrol. 2019 Aug;34(8):1311-1323.

Sobi®

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 600



medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. Sobis intäkter för 2021 uppgick till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på www.sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakt

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka här. För Sobis mediakontakter, klicka här.

Kontakter - Apellis

För kontaktuppgifter till Apellis Investor Relations och mediakontakter, klicka här.