

Sobi och Apellis meddelar positiva topline-resultat från fas 3-studien VALIANT med pegcetacoplan vid C3G och primär IC-MPGN

- *Uppnådde det primära effektmåttet, en statistiskt signifikant 68 % ($p < 0,0001$) minskning av proteinuri jämfört med placebo i en bred studiepopulation*
- *Positiva resultat som är konsekventa för alla subgrupper med C3G och IC-MPGN, ungdomar och vuxna patienter, med sjukdom i icke-transplanterade och transplanterade njurar*
- *Uppvisade gynnsam säkerhet, i enlighet med den etablerade profilen*
- *Bolagen planerar att lämna in data för regulatoriska marknadsgodkännanden i USA och EU*

Sobi® (STO: SOBI) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) meddelade idag positiva topline-resultat från fas 3-studien VALIANT som utvärderar systemisk pegcetacoplan hos patienter med C3-glomerulopati (C3G) eller primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN). Båda är sällsynta njursjukdomar som saknar godkänd behandling.

Studien uppnådde det primära effektmåttet, en statistiskt signifikant och kliniskt meningsfull minskning av proteinuri (den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten) med 68 % ($p < 0,0001$) hos patienter med C3G eller primär IC-MPGN som behandlades med pegcetacoplan jämfört med placebo, båda som tillägg till grundbehandling, vid vecka 26. Resultaten var konsekventa för alla subgrupper som omfattade patienter med C3G och IC-MPGN, ungdomar och vuxna, med sjukdom i icke-transplanterade och transplanterade njurar.

Pegcetacoplan visade även statistisk signifikans avseende viktiga sekundära effektmått i det sammansatta renala effektmåttet som kombinerar minskning av proteinuri och stabiliserad uppskattad glomerulär filtreringshastighet (eGFR), och minskning av proteinuri med minst 50 % jämfört med baslinjen, samt nominell signifikans för de histologiska effektmåtten minskning av C3c-infärgning vid njurbiopsi och stabilisering av njurfunktionen mätt som eGFR jämfört med placebo.

"Som läkare är jag oerhört glad över dessa banbrytande resultat som visar att pegcetacoplan har potential att avsevärt förbättra livet för patienter med C3G och IC-MPGN, oavsett sjukdomstyp, ålder och transplantationsstatus," säger Carla Nester, M.D. MSA, FASN, huvudprövare i studien VALIANT och Jean E. Robillard M.D., professor i pediatrik nefrologi, University of Iowa Stead Family Children's Hospital. "I dagsläget kommer många patienter med dessa sällsynta sjukdomar så småningom att behöva en njurtransplantation eller livslång dialys, så det finns ett akut behov av en behandling som är inriktad på den underliggande orsaken till sjukdomen. Dessa positiva data är ett stort framsteg för alla som lever med sällsynta njursjukdomar."

"Dagens tillkännagivande stärker ytterligare vår övertygelse om att pegcetacoplan har potential att tillgodose kritiska behov hos patienter med dessa allvarliga och livshotande njursjukdomar", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D, Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi är fast beslutna att fortsätta utveckla pegcetacoplan och utöka dess räckvidd, drivna av vårt orubbliga engagemang att göra livsförändrande skillnad för personer med sällsynta sjukdomar."

"Dessa resultat överträffade våra redan högt ställda förväntningar. Pegcetacoplan är den första behandlingen under utveckling som visar en så kraftig minskning av proteinuri vid C3G och IC-MPGN, understödd av data i ett flertal mått på sjukdomsaktivitet, säger Jeffrey Eisele, PhD, Chief Development Officer på Apellis. "Vi bygger vidare på godkännandet av pegcetacoplan för PNH och ser fram emot att förse FDA med dessa nya data och arbeta för att snabbt kunna erbjuda denna behandling till patienter med dessa svåra njursjukdomar."

I studien VALIANT uppvisade pegcetacoplan gynnsam säkerhet och tolerabilitet, i enlighet med dess fastställda profil. Förekomsten av biverkningar, allvarliga biverkningar och biverkningar som ledde till behandlingsavbrott var likartad mellan grupperna som fick pegcetacoplan och placebo. Det förekom inga fall av meningit eller allvarliga infektioner orsakade av inkapslade bakterier.

Patienter som redan slutfört studien VALIANT har nu rekryterats till den långsiktiga förlängningsstudien VALE.

Sobi planerar att lämna in en ansökan om marknadsgodkännande till den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) under 2025. Apellis planerar att lämna in en kompletterande ansökan om marknadsgodkännande (supplemental new drug application) till den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) under första kvartalet 2025. Detaljerade resultat kommer att presenteras vid en kommande medicinsk kongress.

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT (NCT05067127) är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie som utformats för att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos 124 patienter från tolv års ålder med C3G eller primär IC-MPGN. Det är den största enskilda studien som genomförts i dessa patientpopulationer och den enda studien som inkluderar patienter med såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar, både ungdomar och vuxna. Studiedeltagarna randomiserades 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 kan patienterna gå vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare får pegcetacoplan. Studiens primära effektmått var den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten (uPCR) vid vecka 26 jämfört med baslinjen.

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

C3G och primär IC-MPGN är sällsynta och svåra njursjukdomar som kan leda till njursvikt. Förhöjda nivåer av C3c-deponeringar är en markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. Det finns inga behandlingar som riktar sig mot den underliggande orsaken till dessa sjukdomar. Cirka hälften av alla personer som lever med C3G och primär IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller livslång dialys.¹ Dessutom kommer två tredjedelar av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.² Sjukdomarna beräknas drabba runt 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.³

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 immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3 kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Pegcetacoplan utvärderas för sällsynta sjukdomar inom hematologi och nefrologi. Pegcetacoplan är godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som EMPAVELI®/Aspaveli® i USA, EU och andra marknader världen över.

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.

Om Apellis

Apellis Pharmaceuticals, Inc. är ett globalt biofarmaceutiskt företag som genom att kombinera nydanande vetenskap och medkänsla verkar för att utveckla livsförändrande behandlingar för några av de mest utmanande sjukdomarna. De introducerade den första nya läkemedelsklassen för behandling av komplementsystemet på 15 år och har nu två godkända läkemedel som riktar sig mot C3. Dessa inkluderar den första behandlingen någonsin för geografisk atrofi, en ledande orsak till blindhet runt om i världen. Detta förmodas bara vara början på potentialen för målinriktad C3-behandling vid många allvarliga retinala, sällsynta, och neurologiska sjukdomar. För mer information, besök apellis.com, eller följ dem på [X \(Twitter\)](#) och [LinkedIn](#).

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 2023 uppgick till 22,1 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](#).

Referenser

1. C3 glomerulopathy. National Institute of Health, Genetics Home Reference. <https://ghr.nlm.nih.gov/condition/c3-glomerulopathy#resources>. Accessed November 21, 2019.
2. Zand L, et al Clinical findings, pathology, and outcomes of C3GN after kidney transplantation. J Am Soc Nephrol. 2014 May;25(5):1110-7. doi: 10.1681/ASN.2013070715. Epub 2013 Dec 19.
3. Data on file using literature consensus.

Denna information är sådan information som Sobi är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 8 augusti 2024 kl. 13:00 CEST.

Gerard Tobin
Head of Investor Relations