

EMA validerar ansökan om utvidgad indikation för Aspaveli® vid behandling av C3G och primär IC-MPGN

Sobi® och Apellis Pharmaceuticals meddelade idag att den europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, har validerat en ansökan om utvidgad indikation för Aspaveli® (pegcetacoplan) för behandling av C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN). Båda är sällsynta kroniska njursjukdomar som saknar godkänd behandling.

"C3G och IC-MPGN är allvarliga och livshotande njursjukdomar som ofta leder till njursvikt och kräver njurtransplantation eller livslång dialys", säger Lydia Abad-Franch MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Eftersom det idag saknas godkända behandlingar speglar denna viktiga milstolpe vårt engagemang att förbättra behandlingen för personer som drabbats av dessa sällsynta njursjukdomar."

Ansökan inkluderar positiva data från fas 3-studien VALIANT. Studien uppnådde sitt primära effektmått, en statistiskt signifikant och kliniskt meningsfull minskning av proteinuri med 68% ($p < 0,0001$) hos patienter som behandlades med pegcetacoplan jämfört med placebo. Vid vecka 26 var resultaten konsekventa för alla subgrupper, inklusive sjukdomstyp, ålder och transplantationsstatus.

Patienter som behandlades med pegcetacoplan uppnådde dessutom en stabilisering av njurfunktionen (nominellt $p = 0,03$), mätt som uppskattad glomerulär filtrationshastighet, och en betydande andel av patienterna uppnådde en minskning av C3c-infärgningsintensiteten (nominellt $p < 0,0001$). Pegcetacoplan uppvisade gynnsam säkerhet och tolerabilitet, i linje med den etablerade profilen.

"Det finns ett akut behov av en godkänd behandling för C3G och IC-MPGN som kan förlänga njurfunktionen", säger Jeffrey Eisele, PhD, Chief Development Officer på Apellis. "EMA:s validering tar oss ett steg närmare att potentiellt kunna erbjuda denna behandling till europeiska patienter som behöver den. Dessutom går vi vidare i den regulatoriska processen i USA, med en potentiell lansering av pegcetacoplan för C3G och primär IC-MPGN under andra halvåret 2025, om det godkänns."

Aspaveli erhöll sitt första marknadsföringstillstånd från EU-kommissionen 2021 för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri.

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/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 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 C3c-deponeringar i njurarna

är en viktig 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. Dessutom kommer 90 procent av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna. Sjukdomarna beräknas drabba runt 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.

Om pegcetacoplan vid sällsynta sjukdomar

Pegcetacoplan är en målinriktad behandling mot C3 och C3b som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, som är en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3 och C3b 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 (GA).

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.

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. Apellis 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 svåra sjukdomar. För mer information, besök apellis.com. eller följ dem på [X \(Twitter\)](#) och [LinkedIn](#).

Kontakter

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).