

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 19 november 2020

Sobi och Apellis meddelar att första patienten doserats i en potentiellt registreringsgrundande ALS-studie för pegcetacoplan

- MERIDIAN är en 52-veckors fas 2-studie som utvärderar pegcetacoplan, en målinriktad behandling mot C3, hos cirka 200 vuxna med ALS

Stockholm, Sweden och Waltham MA, USA - Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) och Apellis Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: APLS) meddelade idag att den första patienten doserats i den potentiellt registreringsgrundande fas 2-studien MERIDIAN. Studien utvärderar pegcetacoplan, en målinriktad behandling mot C3, hos cirka 200 vuxna med sporadisk amyotrofisk lateral skleros (ALS).

Studier tyder på att förhöjda nivåer av C3 kan spela en roll vid utveckling av ALS, en neurodegenerativ sjukdom som leder till progressiv muskelsvaghet och förlamning. MERIDIAN-studien kommer att undersöka om pegcetacoplan kan erbjuda en ny behandlingsmetod för personer som lever med ALS genom att kontrollera aktiveringen av komplementsystemet via en målinriktad behandling mot C3. Det finns för närvarande ingen behandling som bromsar utvecklingen av ALS.

"Patienter med ALS har ett mycket stort medicinskt behov. De förväntar sig fler och bättre behandlingsalternativ", säger Bashar Al-Nakhala, Chief Operations Officer vid ALS Therapeutic Development Institute. "Vi är tacksamma att Apellis och Sobi bidrar till den kliniska utvecklingen kring ALS, med det gemensamma målet att stoppa den förödande sjukdomsutvecklingen som ALS medför."

"Vi ser med glädje på att första patienten doserats i denna kliniska fas 2-studie, då behovet att få fram en behandling till patienter med ALS är stort", säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi ser fram emot att tillsammans med Apellis utvärdera potentialen av pegcetacoplan hos patienter med ALS."

"Mot bakgrund av den roll C3 förmodas ha vid ALS, arbetar vi intensivt för att klargöra om pegcetacoplan, en målinriktad behandling mot C3, har potential att bromsa sjukdomsprogression och göra skillnad för människor som lever med ALS", säger Federico Grossi, med dr, Chief Medical Officer på Apellis. "Vi utformade MERIDIAN-studien baserat på omfattande återkoppling från människor engagerade i ALS, och vi är dedikerade att fortsätta samarbetet med förhoppning om att en dag kunna erbjuda en betydelsefull behandling för familjer som lever med ALS."

MERIDIAN (APL2-ALS-206) är en potentiellt registreringsgrundande fas 2-studie, en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie avsedd att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos cirka 200 vuxna med sporadisk ALS. Studiedeltagarna kommer att randomiseras 2:1 till behandling med pegcetacoplan eller placebo, samtidigt som de fortsätter att få sin ordinarie behandling för ALS. Efter 52 veckors blindad behandling kommer alla patienter i studien behandlas med pegcetacoplan. Studien har utformats för att minimera antalet klinikbesök i syfte att lindra

bördan för personer som lever med ALS och deras vårdgivare. Cirka sex klinikbesök görs under det första året och under det andra som genomförs utan blindning, görs fyra besök.

Det primära effektmåttet för studien är kombinerad bedömning av funktion och överlevnad (Combined Assessment of Function and Survival, CAFS) vid vecka 52. Viktiga sekundära effektmått inkluderar mätningar av lungfunktion, muskelstyrka och livskvalitet. Ytterligare information om fas 2-studien MERIDIAN, finns på www.clinicaltrials.gov (NCT04579666).

Om amyotrofisk lateralskleros (ALS)

ALS är en förödande neurodegenerativ sjukdom som resulterar i progressiv muskelsvaghet och förlamning på grund av förtvinning av nervceller, så kallade motoriska nervceller, i hjärnan och ryggmärgen.^{1,2} Nedbrytningen av motoriska nervceller leder till progressiv förlust av de viljestyrda muskelrörelser som krävs för att tala, gå, svälja och andas.^{1,2} Personer med ALS har höga nivåer av C3 vid den neuromuskulära synapsen³ där motoriska nervceller kommunicerar direkt med muskelceller. Flertalet studier tyder på att förhöjda nivåer av C3 i hela motoriska nervsystemet hos ALS-patienter sannolikt bidrar till kronisk neuroinflammation och till nedbrytningen av motoriska nervceller.^{3,4,5} Det finns idag inga godkända behandlingar som bromsar eller vänder utvecklingen av ALS, en sjukdom som drabbar cirka 225 000 patienter över hela världen.⁶

Om pegcetacoplan (APL-2)

Pegcetacoplan är ett prövningsläkemedel, 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 är en syntetisk cyklisk peptid konjugerad till en polyetylenglykol-polymer som binder specifikt till C3 och C3b. Pegcetacoplan utvärderas i flera kliniska studier inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) och den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) utvärderar ansökningar för marknadsföringstillstånd av pegcetacoplan för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). FDA har beviljat ansökan prioriterad granskning (priority review). Pegcetacoplan har också beviljats så kallad fast track-status av FDA för behandling av PNH och geografisk atrofi, och har erhållit sär läkemedelsstatus för behandling av C3 glomerulopati (C3G) från både FDA och EMA. Ytterligare information om kliniska studier med pegcetacoplan, se apellis.com/our-science/clinical-trials.

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. Apellis är en ledare inom riktade C3-terapi och strävar efter att utveckla livsförändrande behandlingar för ett brett spektrum av funktionsnedsättande sjukdomar som drivs av okontrollerad aktivering av komplementsystemet, inklusive sjukdomar inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. Mer information finns på www.apellis.com.

Om 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 samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1 500 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. För 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

Kontaktpersoner:

Sobi

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
0733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations
0708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)

Postadress SE-112 76 Stockholm, Sweden
Telefon: + 46 8 697 20 00 | www.sobi.com

Apellis

Media:

Tracy Vineis

media@apellis.com

+1 617 420 4839

Investerare

Sam Martin / Maghan Meyers

sam@argotpartners.com / maghan@argotpartners.com

+1 212 600 1902

¹ National Institute of Neurological Disorders and Stroke. (2020). Amyotrophic Lateral Sclerosis Fact Sheet. Retrieved from <https://www.ninds.nih.gov/Disorders/Patient-Caregiver-Education/Fact-Sheets/Amyotrophic-lateral-Sclerosis-ALS-Fact-Sheet>

² ALS Association. What is ALS? Retrieved June 2020 from <https://www.als.org/understanding-als/what-is-als>

³ Bahia El Idrissi N, et al. J Neuroinflammation. 2016;13(1):72.4 Sta M, et al. Neurobiol Dis. 2011;42(3):211-220.

⁴ Woodruff, et al., PNAS January 7, 2014 111 (1) E3-E4

⁵ Lee, et al Journal of Neuroinflammation volume 15: 171 (2018)25 Arthur K et al. Nat Commun, 2016, Vol 7, article 12408

⁶ Arthur K et al. Nat Commun, 2016, Vol 7, article 12408