

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sverige 10 december 2020

Sobi och Apellis redovisar positiva topline-resultat från fas 3-studien PEGASUS efter 48 veckors behandling med pegcetacoplan vid PNH

- Behandling med pegcetacoplan resulterade i bibehållen förbättring av hemoglobinvärdet vid vecka 48 med en genomsnittlig förbättring med 2.7 g/dL från baslinjen, en likvärdig förbättring som de 2.7 g/dL vilka rapporterades hos patienter behandlade med pegcetacoplan vid 16 veckor
- Bestående förbättringar observerades hos de patienter som behandlats med pegcetacoplan, som minskat behov av transfusioner, retikulocytantal, nivå av laktatdehydrogenas (LDH) samt minskad trötthet uppskattad enligt FACIT-skalan (Functional assessment of chronic illness therapy)
- Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan överensstämde med tidigare rapporterade data

[Stockholm, Sverige och Waltham MA, USA - Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(SobiTM\)](#)

och Apellis Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: APLS), tillkännagav idag positiva topline-resultat från fas 3-studien PEGASUS vid 48 veckor. Patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som behandlats med pegcetacoplan, en målinriktad behandling mot C3 under utveckling, uppvisade bibehållna och kliniska förbättringar. Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan överensstämde med tidigare rapporterade data och inga tillkomna signaler om säkerhetsproblem med behandlingen observerades.

Alla patienter (n=77) som fullföljde PEGASUS-studiens randomiserade, kontrollerade period under 16 veckor, vilken utvärderade pegcetacoplan jämfört med eculizumab, gick vidare till den öppna perioden, där de behandlades med pegcetacoplan från vecka 17 till vecka 48.

Vid 48 veckor sågs bibehållna förbättringar i hemoglobinvärdet bland patienter behandlade med pegcetacoplan med en genomsnittlig förbättring från baseline på 2.7 g/dL, en förbättring likvärdig med de 2.7 g/dL som sågs hos patienter behandlade med pegcetacoplan vid 16 veckor.

Även de patienter som initialt fått eculizumab men under den öppna perioden gått över till pegcetacoplan, uppvisade en bibehållen förbättring av hemoglobinvärdet samt andra hematologiska och kliniska mått och resultaten var jämförbara med de för patienter

behandlade enbart med pegcetacoplan under studiens randomiserade, kontrollerade period.

"Dessa långsiktiga resultat visar att pegcetacoplan har potential att hjälpa patienter med PNH att uppnå och upprätthålla en förbättrad kontroll över sjukdomen", säger Federico Grossi, med dr, Chief Medical Officer på Apellis. "Den bibehållna hematologiska förbättringen och ökningen i livskvalitet, tillsammans med den konsekventa säkerhetsprofil som uppvisats i studien för pegcetacoplan, bidrar till en växande mängd evidens för potentialen hos denna målinriktade behandling mot C3 under utveckling, att kunna höja behandlingstandarden och förändra livet för patienter med PNH till det bättre."

Utöver den bibehållna förbättringen av hemoglobinvärdet upplevde patienter som behandlats med pegcetacoplan bibehållna förbättringar av huvudsakliga sekundära effektmått. Under studiens 48 veckor var 73 procent av patienterna som behandlades med pegcetacoplan fortfarande transfusionsfria. Som jämförelse var 25 procent av patienterna transfusionsfria under året innan de påbörjade PEGASUS-studien, då de behandlades med eculizumab. Förbättringar av övriga relevanta värden som retikulocytantal, nivå av laktatdehydrogenas (LDH) och trötthet (uppskattade enligt FACIT-fatigue) var också bibehållna vid 48 veckor.

Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan vid 48 veckor överensstämde överlag med tidigare rapporterade data. 24 av 80 av patienterna som behandlades med enbart pegcetacoplan (30 procent) fick en allvarlig biverkning, varav fem av dessa (6 procent) bedömdes kunna vara relaterade till behandlingen i studien. Inga meningiter rapporterades. En patient avled på grund av COVID-19 vilket bedömdes icke relaterat till studien. Den vanligaste biverkningen som rapporterades genom studien var injektionsreaktioner (36 procent), hemolys (24 procent) och diarré (21 procent). 12 av 80 patienter (15 procent) avbröt studien på grund av biverkningar, där fem avbröt på grund av hemolys. 64 av 67 patienter (96 procent) som fullföljde den öppna delen av studien valde att fortsätta i uppföljningsstudien.

"Även med dagens behandlingar lider många patienter med PNH av ett fortsatt lågt hemoglobinvärde, vilket kan leda till behov av frekventa transfusioner och försvagande trötthet", säger Ravi Rao, Head of R&D och Chief Medical Officer på Sobi. "Dessa långsiktiga resultat pekar på att behandling med pegcetacoplan, efter ett godkännande, har potential att ge meningsfulla och långsiktiga fördelar för dessa patienter med stort medicinskt behov."

Ansökan om marknadsföringstillstånd för behandling av PNH är under granskning hos den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) och den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). FDA har beviljat ansökan om prioriterad granskning (priority review) med måldatum 14 maj 2021. Utlåtande från EMA:s vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP) väntas under 2021.

Detaljerade resultat kommer att presenteras vid kommande medicinska kongresser.

Om PEGASUS-studien

PEGASUS-studien är en multicenter, randomiserad, direkt jämförande fas 3-studie med 80 vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Det primära målet med studien var att bestämma säkerhet och effekt av pegcetacoplan jämfört med eculizumab. Deltagarna måste ha stått på eculizumab (stabil dos i minst tre månader) med en hemoglobinnivå på <10,5 g/dL vid screeningbesöket. Under inkörningsperioden om fyra veckor doserades patienterna med 1 080 mg pegcetacoplan två gånger i veckan (n=41) utöver ordinarie dos eculizumab. Under den randomiserade, kontrollerade perioden om 16 veckor randomiserades patienterna till att få antingen 1 080 mg pegcetacoplan två gånger i veckan eller ordinarie dos eculizumab (n=39). Alla deltagare som slutförde den randomiserade, kontrollerade perioden gick vidare till den öppna behandlingsperioden med pegcetacoplan.

Om pegcetacoplan

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 om prioriterad granskning (priority review). Pegcetacoplan har beviljats så kallad fast track-status av FDA 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 Paroxysmal Nokturn Hemoglobinuri (PNH)

PNH är en sällsynt, kronisk, livshotande blodsjukdom som kännetecknas av att syrebärande röda blodkroppar förstörs genom extravaskulär och intravaskulär hemolys. Ihållande låga nivåer av hemoglobin kan leda till funktionsnedsättande symtom såsom uttalad trötthet och andningssvårigheter (dyspné) samt kan kräva frekventa transfusioner. En retrospektiv studie visar att även med eculizumab har cirka 72 procent av patienter med PNH anemi, en viktig indikator på pågående hemolys.¹ Studien visar också att 36 procent av patienterna behöver en eller flera transfusioner per år och 16 procent behöver tre eller fler.¹

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.

Denna information är sådan information som Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 10 December 2020 kl 12:00 CET.

Kontaktpersoner:

Sobi

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
+ 46 733 666 599
paula.treutiger@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. McKinley C. Extravascular Hemolysis Due to C3-Loading in Patients with PNH Treated with Eculizumab: Defining the Clinical Syndrome. Blood. 2017;130:3471.