

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 25 maj 2021

Positiva topline-resultat från fas 3-studien PRINCE med pegcetacoplan hos behandlingsnaiva patienter med PNH

- Pegcetacoplan var statistiskt överlägsen i det kombinerade primära effektmåttet vid vecka 26: stabilisering av hemoglobin ($p < 0,0001$) och minskning av laktatdehydrogenas (LDH) ($p < 0,0001$) jämfört med standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare
- Genomsnittliga hemoglobinvärden i pegcetacoplan-gruppen ökade från 9,4 g/dL till 12,1 g/dL jämfört med en ökning från 8,7 g/dL till 9,4 g/dL med standardbehandling ($p = 0,0019$)
- 91 procent av patienterna som fick pegcetacoplan var transfusionsfria jämfört med 22 procent i gruppen som fick standardbehandling ($p < 0,0001$)
- Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan överensstämde med tidigare studier

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) (GLOBE NEWSWIRE) rapporterade idag positiva topline-resultat från fas 3-studien PRINCE som utvärderar effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är behandlingsnaiva, d.v.s. inte behandlats med en komplementhämmare inom tre månader före studiestart.

Pegcetacoplan var statistiskt överlägsen i det kombinerade primära effektmåttet vid vecka 26: stabilisering av hemoglobin och minskning av laktatdehydrogenas (LDH) jämfört med standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare.

- 86 procent av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppnådde hemoglobinstabilisering jämfört med 0 procent av patienterna som fick standardbehandling ($p < 0,0001$). Hemoglobinstabilisering definierades som att hemoglobinvärdet utan transfusion inte minskat med mer än 1 g/dL.
- Genomsnittlig LDH i pegcetacoplan-gruppen minskade med 90 procent från baslinjevärdet på 2151 U/L [9,5 x övre normalgräns (ULN)] till 211 U/L som ligger inom det normala intervallet. Det ska jämföras med en minskning om 14 procent i standardbehandlingsgruppen, från ett baslinjevärde på 1946 U/L (8,6 x ULN) till 1681 U/L (7,4 x ULN) ($p < 0,0001$).

"De positiva resultaten från PRINCE-studien visade att pegcetacoplan gav kliniskt meningsfulla förbättringar i en rad utfallsmått som är viktiga för patienter och bygger vidare på studierna som legat till grund för FDA:s godkännande av pegcetacoplan för PNH", säger Federico Grossi, med dr, Chief Medical Officer på Apellis. "Sammantaget visar dessa studieresultat potentialen för pegcetacoplan att kontrollera sjukdomen hos alla vuxna med PNH oavsett tidigare behandling."

Jämfört med standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare var pegcetacoplan även statistiskt överlägsen i flera sekundära effektmått, inklusive förbättringar av hemoglobinvärden och transfusionsfrihet.

- Genomsnittliga hemoglobinvärden i pegcetacoplan-gruppen ökade från 9,4 g/dL till 12,1 g/dL jämfört med en ökning från 8,7 g/dL till 9,4 g/dL med standardbehandling (p=0,0019).
- 91 procent av patienterna som fick pegcetacoplan var transfusionsfria, jämfört med 22 procent i gruppen som fick standardbehandling (p<0,0001).

Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan överensstämde med tidigare studier. Vid vecka 26 hade 9 procent av patienterna i pegcetacoplan-gruppen rapporterat en allvarlig biverkning (SAE), jämfört med 17 procent i standardbehandlingsgruppen. Ett dödsfall rapporterades i respektive grupp, inget av dem var relaterat till behandlingen. Inga fall av meningit eller trombos rapporterades i någon av grupperna. De vanligaste biverkningarna som rapporterades under studien var reaktion vid injektionsstället (30 procent vs 0 procent), hypokalemi (13 procent vs 11 procent) och feber (9 procent vs 0 procent).

"Studieresultaten från PRINCE stärker effekt- och säkerhetsprofilen för pegcetacoplan vid PNH", säger Ravi Rao, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi hoppas kunna bidra till bättre vård och göra skillnad för människor som lever med denna sällsynta blodsjukdom."

Detaljerade resultat från PRINCE-studien kommer att presenteras vid medicinska kongresser.

Om PRINCE-studien

PRINCE-studien (NCT04085601) är en 2:1 (pegcetacoplan: standardbehandling) randomiserad, multicenter, öppen, kontrollerad fas-3 studie hos 53 vuxna, behandlingsnaiva patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Det primära målet med studien var att bedöma säkerhet och effekt av pegcetacoplan hos patienter som inte har fått behandling med någon komplementhämmare inom tre månader före screening. Under den randomiserade, kontrollerade perioden om 26 veckor fick patienterna antingen 1080 mg pegcetacoplan två gånger i veckan eller ordinarie dos standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare. Patienter i standardbehandlingsgruppen hade möjlighet att byta till pegcetacoplan-gruppen om deras hemoglobin minskade med 2 g/dL eller mer från baslinjevärdet.

Om pegcetacoplan

Pegcetacoplan är ett prövningsläkemedel, en målinriktad behandling mot C3, det centrala proteinet i komplementsystemet. Det verkar proximalt i komplementsystemet genom att kontrollera både C3b-medierad extravaskulär hemolys och terminal komplementmedierad intravaskulär hemolys. Pegcetacoplan utvärderas i flera kliniska studier inom hematologi, oftalmologi, nefrologi och neurologi. I maj 2021 godkändes pegcetacoplan som EMPAVELI™ i USA för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Ansökan om marknadsföringstillstånd för behandling av PNH är under granskning hos den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Pegcetacoplan har också beviljats så kallad Fast Track-status av FDA för behandling av geografisk

atrofi, och har erhållit sär läkemedelsstatus för behandling av C3 glomerulopati (C3G) från både FDA och EMA. För ytterligare information om kliniska studier med pegcetacoplan, se www.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.

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. För mer information, besök <http://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 och Asien. För 2020 uppgick Sobis totala intäkter till 15,3 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 och lagen om värdepappersmarknaden. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 25 maj 2021 kl. 13:00 CEST.

För mer information, vänligen kontakta

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

Maria Kruse, Corporate Communication & Investor Relations
0767 248 830
maria.kruse@sobi.com

Apellis

Media:
Lissa Pavluk
media@apellis.com
+1 617 977 6764

Investorare:
Argot Partners
apellis@argotpartners.com
+1 212 600 1902