

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 15 oktober 2021

Aspaveli® (pegcetacoplan) får positivt utlåtande från CHMP för behandling av PNH

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) meddelar idag att den Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har gett ett positivt utlåtande och rekommenderar ett marknadsföringstillstånd för Aspaveli® (pegcetacoplan) vid behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter behandling med en C5-hämmare under minst tre månader. Det positiva utlåtandet går nu vidare till Europeiska kommissionen för beslut.

PNH är en sällsynt, kronisk, livshotande blodsjukdom där okontrollerad komplementaktivering leder till att syrebärande röda blodkroppar förstörs genom intravaskulär och extravaskulär hemolys. Tillståndet kännetecknas av ihållande låga nivåer av hemoglobin och kan kräva frekventa transfusioner samt leda till funktionsnedsättande symtom såsom uttalad trötthet. Trots minskning av hemolytisk aktivitet vid behandling med C5-hämmare visar en retrospektiv studie och en tvärsnittsstudie att cirka 72 procent av dessa patienter förblir anemiska.^{1,2}

"Dagens positiva utlåtande från CHMP är en viktig milstolpe för människor som lever med PNH i Europa", säger Ravi Rao, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi strävar efter att göra skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar, och om EU-kommissionen godkänner Aspaveli kommer patienter och deras läkare att erbjudas en ny läkemedelsklass för kompletterande behandling av PNH."

Det positiva utlåtandet baseras på resultat från den direkt jämförande fas 3-studien, PEGASUS, där effekt och säkerhet av Aspaveli jämfört med eculizumab utvärderades vid 16 veckors behandling av vuxna med PNH som hade fortsatt anemi trots behandling med eculizumab. Resultaten publicerades i [The New England Journal of Medicine i mars 2021](#).²

"Det positiva utlåtandet från CHMP följer efter det amerikanska godkännandet, och tar oss ett steg närmre att göra denna viktiga behandling tillgänglig för patienter i Europa", säger Federico Grossi, MD, PhD, Chief Medical Officer på Apellis. "Vid ett godkännande har Aspaveli potential att förändra behandlingen för patienter med PNH, och vi ser därför fram emot EU-kommissionens slutliga beslut."

Aspaveli är det europeiska varumärket för pegcetacoplan. I USA är pegcetacoplan godkänt för behandling av vuxna med PNH och marknadsförs under namnet Empaveli™.

Om PEGASUS-studien

PEGASUS-studien (APL2-302; NCT03500549) var 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 Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan) jämfört med eculizumab.

Om Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan)

Aspaveli®/Empaveli™ (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. Empaveli är godkänt i USA för behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Den Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har gett ett positivt utlåtande för Aspaveli vid behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter behandling med en C5-hämmare under minst tre månader. Det positiva utlåtandet går nu vidare till Europeiska kommissionen för beslut. Behandlingen utvärderas också för flera sällsynta sjukdomar inom hematologi, nefrologi och neurologi.

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. Sobi har 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 15 oktober 2021, kl. 13.15 CEST.

Kontakter

Sobi

Thomas Kudsk Larsen
Head of Communication & Investor Relations

Maria Kruse
Director of Communication & Investor Relations

Kontaktuppgifter till Sobis [Investor Relations](#) respektive kontaktuppgifter för [media](#).

Apellis

Investerar:
Meredith Kaya
meredith.kaya@apellis.com
+1 617 599 8178

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

Referens

1. McKinley C. Extravascular Hemolysis Due to C3-Loading in Patients with PNH Treated with Eculizumab: Defining the Clinical Syndrome. *Blood*. 2017;130:3471.
2. Dingli ASH 2020 Abstract/ p.1/ Methods/ In.1-2; p.2/ Results/In.7-9; In.14-15.
3. Hillmen P, Szer J, Weitz I, et al. Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. *N Engl J Med*. DOI: 10.1056/NEJMoa2029073.