

Stockholm, Sverige, 17 mars, 2021

New England Journal of Medicine publicerar resultat från fas 3-studien PEGASUS som jämför pegcetacoplan med eculizumab vid PNH

- *Pegcetacoplan, ett målinriktat prövningsläkemedel mot C3 vid allvarliga komplementdrivna sjukdomar, visade sig överlägsen eculizumab med en statistiskt signifikant förbättring av hemoglobinvärden samt visade förbättringar av betydande kliniska resultat*
- *Ansökan om marknadsföringstillstånd för pegcetacoplan är under granskning hos EMA och under prioriterad granskning (Priority Review) hos FDA.*

Stockholm och Waltham MA, USA - Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) (STO:SOBI) och Apellis Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: APLS), meddelade idag att [*The New England Journal of Medicine \(NEJM\)*](#) publicerat resultaten från fas 3-studien PEGASUS där pegcetacoplan, ett målinriktat prövningsläkemedel mot C3, visade sig överlägsen C5-hämmaren eculizumab, både vad gäller förbättrade hemoglobinvärden samt visade förbättring i betydande kliniska parametrar efter 16 veckors behandling av vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) med kvarstående anemi trots behandling med eculizumab.

"Resultaten som publicerats i The New England Journal of Medicine understryker pegcetacoplans potential att bli ett betydande framsteg för människor som lever med PNH", säger PEGASUS studieförfattare Peter Hillmen, M.B., Ch.B., Ph.D, professor i experimentell hematologi vid Leeds Teaching Hospitals NHS Trust. "Behov av nya behandlingsalternativ kvarstår, eftersom många patienter som behandlas med C5-hämmare mot PNH förblir anemiska med måttlig till svår trötthet, vilket för en del patienter innebär ett fortsatt behov av blodtransfusioner."

"Studieresultaten från PEGASUS visar att pegcetacoplan, efter godkännande, har potential att höja behandlingsstandarden vid PNH genom att uppnå och upprätthålla en förbättrad kontroll över sjukdomen", säger Federico Grossi, M.D., Ph.D., Chief Medical Officer på Apellis. "Vi arbetar för att patienter med PNH snarast möjligt ska få tillgång till denna potentiella nya behandling, samtidigt som vi vidareutvecklar pegcetacoplan för att utvärdera flera andra allvarliga, komplementdrivna sjukdomar."

"Att NEJM publicerat resultaten från PEGASUS-studien speglar vikten av dessa data för såväl medicinska experter som för människor som lever med PNH", säger Ravi Rao, Head of R&D och

Stockholm, Sverige, 17 mars, 2021

Chief Medical Officer på Sobi. "Resultaten ger oss en djupare förståelse för C3:s roll i PHN och vi hoppas kunna bidra till bättre vård av patienter med PNH världen över."

Artikeln i NEJM lyfter fram resultaten som visar att pegcetacoplan uppfyllde studiens primära effektmått och var överlägsen eculizumab med en statistiskt signifikant förbättring av justerade medelvärden för hemoglobin med 3,8 g/dL vid vecka 16 ($p < 0,001$). Därtill var 85 procent av patienterna som behandlades med pegcetacoplan transfusionsfria under de 16 veckorna jämfört med 15 procent av patienterna som behandlades med eculizumab. Relevanta förbättringar uppvisades även i viktiga sjukdomsmarkörer såsom absoluta retikulocytantal, nivå av laktatdehydrogenas (LDH) och trötthet (skattat enligt FACIT-fatigue).

Säkerhetsdata var likvärdiga för pegcetacoplan och eculizumab i denna studie. Sju av 41 patienter (17%) i gruppen behandlade med pegcetacoplan och 6 av 39 patienter (15%) i gruppen behandlade med eculizumab, upplevde en allvarlig biverkan. Inga fall av hjärnhinneinflammation och inga dödsfall rapporterades i någon av behandlingsgrupperna. De vanligaste biverkningarna som rapporterades under den 16 veckors långa, randomiserade och kontrollerade, behandlingsperioden i grupperna pegcetacoplan respektive eculizumab var reaktioner på injektionsstället (37% respektive 3%), diarré (22% respektive 3%), hemolys (10% respektive 23%), huvudvärk (7% respektive 23%) och trötthet (5% respektive 15%).

Topline-resultat från PEGASUS-studien vid 48 veckor har [nyligen offentliggjorts](#). Dessa visade bestående förbättringar i viktiga sjukdomsmarkörer, samt en säkerhetsprofil som överensstämde med tidigare rapporterade data.

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

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 1080 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 1080 mg

Stockholm, Sverige, 17 mars, 2021

pegcetacoplan två gånger i veckan eller ordinarie dos eculizumab (n=39). Alla deltagare som slutförde den randomiserade, kontrollerade perioden (n=77) 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. Ansökningar om marknadsföringstillstånd för pegcetacoplan vid behandling av PNH är under granskning hos den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA och den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA. Den senare har beviljat ansökan om prioriterad granskning (priority review). Pegcetacoplan har även beviljats så kallad fast track-status av FDA för 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 finns på <https://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. 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, Asien och Nordafrika. För 2020 uppgick Sobis totala intäkter till 15.3 miljarder SEK. Sobis aktie (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



Stockholm, Sverige, 17 mars, 2021
Maria Kruse, Corporate Communication & Investor Relations
0767 248 830
maria.kruse@sobi.com

Apellis

Media:

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

Investerare:

Argot Partners
apellis@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.