

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, Sverige, 13 december 2021

Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan) visade normalisering och stabilisering av kliniska värden i en bred PNH patientpopulation

- *Förbättringar påvisades hos behandlingsnaiva patienter och patienter med ett baslinjevärde för hemoglobin om 10,0 g/dL eller högre*
- *Resultaten presenterades vid American Society of Hematology, ASH:s årliga kongress*

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) presenterade idag nya data som visar att Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan) ger en normalisering och stabilisering av kliniska värden hos behandlingsnaiva patienter och hos patienter med ett ursprungsvärde för hemoglobinnivå om 10,0 g/dL eller högre, vid behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Resultaten presenterades vid American Society of Hematology Annual Meeting, ASH:s årliga kongress, 11–14 december 2021.

Ihållande normalisering och statistiskt överlägsna förbättringar av kliniska värden hos behandlingsnaiva patienter

Nya data från fas 3-studien PRINCE hos behandlingsnaiva patienter med PNH visade att behandling med pegcetacoplan ledde till ihållande och statistiskt överlägsna förbättringar i det kombinerade primära effektmåttet av stabilisering av hemoglobin under 26 veckor och minskning av laktatdehydrogenas (LDH) jämfört med standardbehandling som inte inkluderade komplementhämmare, vid vecka 26.

Förbättringar observerades redan två veckor efter påbörjad behandling med pegcetacoplan, och fram till och med vecka 26 visade patienterna ihållande normalisering av viktiga markörer för sjukdomen:

- 46 procent av patienterna som fått pegcetacoplan uppnådde normalisering av hemoglobin utan att ha fått en transfusion – med en genomsnittlig hemoglobinnivå om 12,8 g/dL från ett genomsnittligt baslinjevärde om 9,4 g/dL – jämfört med 0 procent av patienterna som fått standardbehandling ($p < 0,0010$)
- Hos patienter som fått pegcetacoplan sjönk genomsnittliga LDH-nivåer snabbt, från 9,5 gånger den övre normalgränsen (ULN) till under 1,5 gånger ULN vecka två, normaliserades vid vecka fyra, och bibehölls till och med vecka 26
- 91 procent av patienterna som fått pegcetacoplan var transfusionsfria jämfört med 6 procent av patienterna som fått standardbehandling ($p < 0,0001$), vilket påvisar statistisk överlägsenhet

Säkerhetsprofilen för pegcetacoplan överensstämde med tidigare studier. Vid vecka 26 hade 9 procent av patienterna behandlade med pegcetacoplan rapporterat en allvarlig biverkning (SAE), jämfört med 17 procent i gruppen som fick standardbehandling. Inga fall av trombos eller meningokockinfektion rapporterades i någon av grupperna. De vanligaste biverkningarna som rapporterades för gruppen som

behandlades med pegcetacoplan- respektive standardbehandling var: reaktion vid injektionsstället (30% vs. 0%), hypokalemi (13% vs. 11%), yrsel (11% vs. 0%) och feber (9% vs. 0%).

"Resultaten som presenteras på ASH bidrar till att stärka evidensen för pegcetacoplan och understryker dess konsekventa effekt och säkerhetsprofil i en bred population av vuxna med PNH", säger Federico Grossi, M.D, Ph.D., Chief Medical Officer på Apellis. Pegcetacoplan har potential att höja nivån på standardbehandlingen för vuxna med PNH oavsett tidigare behandling eller baslinjevärde för hemoglobin."

Kliniskt meningsfulla förbättringar hos patienter med nära normala hemoglobinnivåer vid baslinjen

En ny post hoc-analys av studierna i det kliniska programmet med pegcetacoplan vid PNH visade att behandling med pegcetacoplan hos patienter med hemoglobinnivåer som motsvarade eller översteg 10,0 g/dL gav kliniskt meningsfulla förbättringar i en rad viktiga sjukdomsmarkörer. Analysen omfattade data från behandlingsnaiva patienter och patienter med kvarstående anemi trots stabil behandling med eculizumab, en C5-hämmare.

Detaljerade data visade att behandling med pegcetacoplan:

- Ökade genomsnittliga hemoglobinnivåer till 13,9 g/dL, 12,1 g/dL och 12,7 g/dL från en genomsnittlig baslinjenivå på 11,3 g/dL, 10,2 g/dL och 10,4 g/dL i PRINCE-, PEGASUS- respektive PADDOCK-studien
- Resulterade i genomsnittliga förbättringar från baslinjevärde i minskad trötthet, bedömd enligt FACIT-skalan (Functional Assessment of Chronic Illness Therapy): 9,9 poäng, 13,3 poäng och 6,6 poäng i PRINCE-, PEGASUS- respektive PADDOCK-studien. En förbättring om tre poäng anses generellt vara kliniskt meningsfull.

"De resultat som nu presenteras stärker effekt- och säkerhetsprofilen för pegcetacoplan vid PNH", säger Ravi Rao, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi fokuserar på att förbättra behandlingen för att göra skillnad för människor som lever med denna sällsynta blodsjukdom."

Om PRINCE-studien

PRINCE-studien (NCT04085601) var en 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 pegcetacoplane säkerhet och effekt 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 om deras hemoglobin minskade med 2 g/dL eller mer från baslinjevärdet.

Om PEGASUS-studien

PEGASUS-studien (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 pegcetacoplan jämfört med eculizumab. Deltagarna måste ha stått på eculizumab (stabil dos i minst tre månader) med en hemoglobinnivå om <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

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 PADDOCK-studien

PADDOCK-studien (NCT02588833) var en multicenter, randomiserad, direkt jämförande fas 1b-studie hos 23 vuxna med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som aldrig behandlats med eculizumab. Det primära syftet med denna studie, utformad med två kohorter, var att fastställa säkerheten och effekten av 270 mg pegcetacoplan administrerat dagligen genom subkutan injektion hos vuxna med PNH. Patienterna i kohort ett fick en suboptimal dos om 180 mg pegcetacoplan en gång dagligen i 28 dagar och patienterna i kohort två fick 270 mg pegcetacoplan en gång dagligen i upp till ett år.

Om Aspaveli®/Empaveli™ (pegcetacoplan)

Empaveli™/Aspaveli® (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. Pegcetacoplan är godkänt för behandling av vuxna med PNH i USA och marknadsförs under namnet Empaveli. Den Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har gett ett positivt utlåtande för Aspaveli® (det europeiska läkemedelsnamnet för pegcetacoplan) vid behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. Det positiva utlåtandet har gått vidare till Europeiska kommissionen för beslut. Läkemedlet utvärderas även för flera andra sällsynta sjukdomar inom hematologi, nefrologi och neurologi.

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 Sobis och Apellis samarbete

Sobi och Apellis har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, och Apellis har kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA samt globala kommersialiseringsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi (GA).

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, [LinkedIn](#) och [YouTube](#).

Kontakter - Sobi

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

Apellis

Media:

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

Investerare:

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