

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 15 December 2021

Aspaveli® (pegcetacoplan) godkänt i EU som säräkemedel för behandling av PNH

- *Den första C3-målinriktade behandlingen som godkänts i EU*
- *Godkännandet är baserat på den direkt jämförande fas-3 studien PEGASUS där Aspaveli visade sig överlägsen eculizumab i förbättring av hemoglobinvärdet¹*
- *I egenskap av säräkemedel erhåller Aspaveli marknadsexklusivitet för paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH)*

[Swedish Orphan Biovitrum AB](#) (publ) (Sobi™) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) meddelar idag att Europeiska kommissionen godkänt Aspaveli® (pegcetacoplan), den första och enda C3-målinriktade behandlingen för vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. 2017 beviljades pegcetacoplan säräkemedelsstatus för behandling av PNH, och i linje med rekommendationen från Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för säräkemedel har EU-kommissionen slagit fast att pegcetacoplan behåller sin säräkemedelsstatus.

PNH är en sällsynt, kronisk och livshotande blodsjukdom där okontrollerad komplementaktivering leder till att syrebärande röda blodkroppar förstörs genom intravaskulär hemolys och extravaskulär hemolys. Tillståndet kännetecknas av ihållande låga nivåer av hemoglobin och kan kräva frekventa transfusioner samt leda till funktionsnedsättande symtom såsom uttalad trötthet orsakad av anemi. Trots minskning av hemolytisk aktivitet vid behandling med C5-hämmare visar en retrospektiv studie och en tvärsnittsstudie^{2,3} att cirka 72 procent av människor med PNH som behandlats med C5-hämmare förblir anemiska.

"Europeiska kommissionens marknadsgodkännande av Aspaveli är en milstolpe för människor som lever med PNH i Europa", säger Guido Oelkers, vd och koncernchef på Sobi. "Symtomen vid PNH kan påverka livskvaliteten väsentligt. Dessutom behöver många människor, trots dagens behandling, fortfarande frekventa blodtransfusioner. Vi samarbetar nu med EU:s medlemsländer för att göra detta viktiga läkemedel tillgängligt så snabbt som möjligt."

"Som den första och enda C3-målinriktade behandlingen i Europa har Aspaveli potential att förbättra standardbehandlingen för personer som lever med PNH", säger Federico Grossi, med dr, Chief Medical Officer på Apellis. "Dagens godkännande utgör en första ny klass av läkemedel riktade mot

komplementsystemen i Europa på över ett decennium, och bygger vidare på lanseringen av denna viktiga behandling i USA."

Godkännandet 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. De fullständiga resultaten publicerades i [New England Journal of Medicine](#) i mars 2021.¹

För att erhålla sär läkemedelsstatus ska ett preparat behandla en allvarlig sjukdom som drabbar färre än fem på tiotusen personer i EU samt visa avsevärd fördel jämfört med befintliga behandlingar. Aspaveli kommer att ha marknadsexklusivitet baserat på sin sär läkemedelsstatus vid PNH.

Om Aspaveli®/Empaveli™

Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan) är en C3-målinriktad behandling 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. Aspaveli är godkänt som sär läkemedel i EU vid behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. I USA marknadsförs det under namnet Empaveli och är godkänt för behandling av vuxna med PNH. Läkemedlet utvärderas även för flera andra sällsynta sjukdomar inom hematologi, nefrologi och neurologi.

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 Team](#), respektive Sobis [mediakontakter](#).

Apellis

Media:

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

Investerare:

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

Referens:

1. Hillmen P, Szer J, Weitz I, et al. Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. N Engl J Med. DOI: 10.1056/NEJMoa2029073.
2. McKinley C. Extravascular Hemolysis Due to C3-Loading in Patients with PNH Treated with Eculizumab: Defining the Clinical Syndrome. Blood. 2017;130:3471.
3. Dingli ASH 2020 Abstract/ p.1/ Methods/ In.1-2; p.2/ Results/In.7-9; In.14-1.
4. Risitano et al. 2009.