

Nya data på EHA2022 stärker Aspaveli/Empavelis (pegcetacoplan) robusta effekt- och säkerhetsprofil vid PNH

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: APLS) redovisade idag nya analyser från fas-3 studier som ytterligare stärker den robusta effekt- och säkerhetsprofilen för Aspaveli®/Empaveli® (pegcetacoplan) vid paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH). Resultaten presenteras vid EHA:s (European Hematology Association) hybridkongress i Wien, Österrike.

Nya analyser visade att behandling med Aspaveli/Empaveli gav meningsfulla förbättringar av livskvaliteten hos behandlingsnaiva patienter och indikerade att förekomsten av trombos var jämförbar med eculizumab, en C5-hämmare. Vidare visade en matchad justerad indirekt jämförelse (MAIC) signifikanta förbättringar i kliniska resultat hos behandlingsnaiva patienter som fick Aspaveli/Empaveli jämfört med C5-hämmare.

"Det är glädjande att dessa nya data ytterligare stärker Aspaveli/Empavelis säkerhet och effekt vid behandling av detta sällsynta, kroniska och livshotande tillstånd", säger Anders Ullman, Head of Research & Development och Chief Medical Officer på Sobi. "Sobi och Apellis är fast beslutna att förbättra vården och livskvaliteten för de som lever med denna sällsynta blodsjukdom."

"Resultaten som presenteras på EHA bidrar till att ytterligare stärka evidensen för att Empaveli/Aspaveli ger både kliniskt meningsfull effekt och förbättrad livskvalitet oavsett tidigare behandling", säger Peter Hillmen, MB ChB, PhD, Head of Haematology Engagement på Apellis. "Många patienter upplever en betydande sjukdomsburda, även vid behandling med en C5-hämmare, och dessa data ger således stöd för att Empaveli/Aspaveli har potential att bli en ny standardbehandling vid PNH."

Aspaveli/Empaveli visade meningsfulla förbättringar av livskvaliteten hos behandlingsnaiva patienter
I en analys av fas 3-studien PRINCE upplevde tidigare behandlingsnaiva patienter, som fick Aspaveli/Empaveli under 26 veckor meningsfulla förbättringar av livskvaliteten och nådde normala eller nära normala nivåer jämförbara med befolkningen i allmänhet. Dessa data, vilka utvärderades med hjälp av flera olika bedömningsmått, bland annat 30-skalan Quality of Life Questionnaire-Core från European Organisation for Research and Treatment of Cancer, redovisas i en muntlig presentation på kongressen.

Resultaten indikerade att förekomst av trombos hos patientgrupper behandlade med Aspaveli/Empaveli eller eculizumab var jämförbar

En post hoc-analys av data från samtliga kliniska studier med Aspaveli/Empaveli vid PNH visade en förekomst av 1,54 trombotiska händelser per 100 patientår hos patienter behandlade med Aspaveli/Empaveli jämfört med 1,77 trombotiska händelser per 100 patientår hos patienter behandlade med eculizumab före inträde i fas 3-studien PEGASUS.

Därtill visade en post hoc-analys av fas 3-studierna att normaliseringen av D-dimernivåerna var jämförbar hos patientgrupperna behandlade med Aspaveli/Empaveli eller eculizumab. D-dimer är en markör för trombotisk risk, en av de vanligaste livshotande komplikationerna vid PNH.

Aspaveli/Empaveli visade statistiskt signifikanta förbättringar i kliniska resultat hos behandlingsnaiva patienter jämfört med C5-hämmare

Individuella patientdata från fas 3-studien PRINCE jämfördes enligt MAIC-metoden med aggregerade,

publicerade data från ALXN1210-PNH-3-studien¹, vilken jämförde C5-hämmarna ravulizumab och eculizumab hos behandlingsnaiva patienter med PNH.

Patienter som behandlades med Aspaveli/Empaveli visade signifikanta förbättringar jämfört med C5-hämmare i alla viktiga sjukdomsmått som utvärderats, inklusive normalisering av laktatdehydrogenas, hemoglobinstabilisering och transfusionsfrihet vid vecka 26.

I avsaknad av en aktivt jämförande klinisk studie är MAIC är en giltig och vedertagen metod för att jämföra effektivitet inom forskningen och används av hälsotekniska bedömningsorgan över hela världen.^{2,3} Vad gäller MAIC-analyser i allmänhet är det inte alltid möjligt att justera matchningen för samtliga förväxlingsfaktorer på grund av skillnader i studiernas specifika design och inklusionskriterier. Huvudsakliga begränsningar innefattar bland annat skillnader i administreringsväg, administrationsschema och doseringsregim.

Om Aspaveli®/ Empaveli®

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. Pegcetacoplan är godkänt som Aspaveli® i EU och Storbritannien för behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som är anemiska efter minst tre månaders behandling med en C5-hämmare. I USA och Saudiarabien är pegcetacoplan godkänt som Empaveli® för behandling av vuxna patienter med PNH. Empaveli är även godkänt i Australien för behandling av vuxna patienter med PNH som har ett otillräckligt svar, eller är intoleranta mot behandling, med C5-hämmare.

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 Aspaveli/Empavelis säkerhet och effekt hos patienter som inte hade fått behandling med någon komplementhämmare inom tre månader före screening. Under den randomiserade, kontrollerade perioden om 26 veckor fick patienterna antingen 1080 mg Aspaveli/Empaveli två gånger i veckan eller ordinarie dos standardbehandling, vilken inte inkluderade komplementhämmare. Patienter i standardbehandlingsgruppen hade möjlighet att byta till Aspaveli/Empaveli-gruppen om deras hemoglobin minskade med 2 g/dL eller mer från baslinjevärdet.

Om PEGASUS-studien

PEGASUS-studien (NCT03500549) var en multicenter, randomiserad, öppen, 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 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 Aspaveli/Empaveli 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 Aspaveli/Empaveli två gånger i veckan eller ordinarie dos eculizumab (n=39). Alla deltagare som slutförde den randomiserade, kontrollerade perioden (n=77) valde att gå vidare till den öppna behandlingsperioden med Aspaveli/Empaveli.

Om den matchade justerade indirekta jämförelsen, MAIC-analysen

Individuella patientdata från PRINCE-studien jämfördes enligt MAIC-metoden (matchad justerad indirekt jämförelse) med aggregerade, publicerade resultat från ALXN1210-PNH-301-studien¹, vilken jämförde C5-hämmarna ravulizumab och eculizumab hos patienter med PNH som inte tidigare behandlats med någon komplementhämmare. För att kompensera för skillnader mellan studierna viktades benägenhetspoäng för att balansera demografiska och kliniska egenskaper. Resultat som analyserades från PRINCE-studien vid vecka 26 och ALXN1210-PNH-301-studien vid vecka 26 inkluderade laktatdehydrogenasnivåer (LDH), normalisering av LDH, hemoglobinstabilisering samt transfusionsfrihet. Vad gäller MAIC-analyser i allmänhet är det inte alltid möjligt att justera matchningen för samtliga förväxlingsfaktorer på grund av skillnader i studiernas specifika design och inklusionskriterier.

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 exklusiva 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. I egenskap av ledare inom komplement, introducerade de en första ny klass av komplementmedicin på 15 år genom godkännandet av den första och enda målinriktade behandlingen mot C3. De främjar fortsatt vetenskaplig utveckling av transformativa läkemedel för människor som lever med sällsynta, retinala och neurologiska sjukdomar. För mer information, besök apellis.com eller följ dem på Twitter och LinkedIn.

Referens

1. Lee JW, Sicre de Fontbrune F, Wong Lee Lee L, et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naive to complement inhibitors: the 301 study. *Blood*. 2019;133(6):530-539. doi:10.1182/blood-2018-09-876136.
2. Phillippo DM, Ades AE, Dias S, Palmer S, Abrams KR, and Welton NJ. Methods for Population-Adjusted Indirect Comparisons in Health Technology Appraisal. *Medical Decision Making* 2018;38(2): 200-211.
3. Signorovitch JE, Sikirica V, Erder MH, Xie J, Lu M, Hodgkins PS, Betts KA, and Wu EQ. Matching-Adjusted Indirect Comparisons: A New Tool for Timely Comparative Effectiveness Research. *Value in Health* 2012;15(6):940-947.

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 och nischindikationer, och har cirka 1 600 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern och Asien. Sobis intäkter för 2021 uppgick till 15,5 miljarder SEK. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com, LinkedIn och YouTube.

Kontakter - Sobi

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka här. För Sobis mediakontakter, klicka här.

Kontakter - Apellis

För kontaktuppgifter till Apellis Investor Relations och mediakontakter, klicka här.