

Sobi meddelar positiva resultat från fas 2-studien NOBLE med pegcetacoplan vid återfall i primär IC-MPGN och C3G efter transplantation

- *Efter 12 veckor uppvisade 50 procent av patienterna som behandlades med pegcetacoplan en minskning av C3c-infärgning med två eller flera storleksordningar från baslinjen*
- *Patienter som behandlades med pegcetacoplan uppvisade förbättringar i flera kliniska mått, inklusive njurfunktion och proteinuri*
- *Det saknas godkänd behandling av IC-MPGN och C3G, sällsynta sjukdomar som ofta leder till njursvikt*

Sobi® och Apellis Pharmaceuticals, Inc. meddelade idag att positiva resultat från fas 2-studien NOBLE, som utvärderar pegcetacoplan vid behandling av återfall i primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) och C3 glomerulopati (C3G) efter transplantation, kommer att presenteras vid årsmötet för American Society of Nephrology (ASN) Kidney Week.

Resultaten visade på en potentiell effekt hos både IC-MPGN och C3G-patienter som behandlades med pegcetacoplan. Vid vecka 12, avseende de 10 patienter (IC-MPGN: n=2; C3G: n=8) som behandlades med pegcetacoplan:

- Åtta (80 procent) patienter som behandlades med pegcetacoplan uppvisade en minskning av intensiteten i C3c-infärgningen (som återspeglar skadlig deponering) med en eller flera storleksordningar från baslinjen.
- Fem (50 procent) av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppvisade en minskning av intensiteten i C3c-infärgningen med två eller flera storleksordningar från baslinjen.
- Fyra (40 procent) patienter uppvisade ingen infärgningsintensitet, vilket tyder på att C3-deponeringarna har eliminerats.

Förhöjda nivåer av C3-deponeringar i njuren leder till inflammation och skada på njuren, vilket ofta orsakar njursvikt.

"Dessa positiva resultat visar att pegcetacoplan redan inom tolv veckor har kapacitet att eliminera de deponeringar som orsakar njurskador och potentiellt kan förhindra framtida skador", säger studieförfattaren Andrew Bomback, MD, vid centret för glomerulära sjukdomar, Columbia University Irving Medical. "Personer som lever med C3G och IC-MPGN efter transplantation har en hög frekvens av sjukdomsåterfall, vilket skapar en betydande börda för patienter både fysiskt och känslomässigt. Dessa data är mycket lovande, särskilt med tanke på att det för närvarande inte finns någon godkänd behandling tillgänglig."

Dessutom visade pegcetacoplan vid 12 veckor en genomsnittlig minskning av proteinuri (39,2 % förändring från baslinjen), en viktig markör för sjukdomsprogression², i en undergrupp patienter med höga baslinjenivåer (≥ 1 g per dag). Även andra biomarkörer förbättrades, inklusive en ökad genomsnittlig serumkoncentration av C3, en minskad genomsnittlig serumkoncentration av C5b-9 och stabilisering av njurfunktionen, mätt med estimerad glomerulär filtrationshastighet (eGFR). Det förekom inga studieavbrott på grund av behandlingsrelaterade biverkningar.

"Dessa resultat stärker vår övertygelse om att pegcetacoplan har potential att behandla både primära och post-transplantationsvarianter av dessa sällsynta, allvarliga och livshotande tillstånd", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Vi är fast beslutna att vidareutveckla och göra pegcetacoplan tillgängligt för fler människor som behöver det, helt i linje med vårt målmedvetna engagemang att göra livsförändrande skillnad för personer med sällsynta sjukdomar."

Fas 3-studien VALIANT är pågående och utvärderar pegcetacoplan hos ungdomar och vuxna med medfödd njursjukdom eller som återinsjuknat i IC-MPGN eller C3G efter att ha genomgått en njurtransplantation. Topline-resultat från VALIANT förväntas under 2024. Data från fas 2-studien DISCOVERY som utvärderade pegcetacoplan hos patienter med C3G publicerades nyligen i KI Reports. Utvecklingen av pegcetacoplan för IC-MPGN och C3G leds av Apellis.

Information om presentationen på ASN Kidney Week 2023

Efficacy of 12-week pegcetacoplan in kidney transplant recipients with recurrent C3 glomerulopathy (C3G) or immune complex membranoproliferative glomerulonephritis (IC-MPGN),
Poster #SA-PO923 – 4 november, 2023 kl. 10:00-12:00 ET

Om fas 2-studien NOBLE

Fas 2-studien NOBLE ([NCT04572854](#)) är en öppen, randomiserad, kontrollerad multicenterstudie utformad för att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos 13 vuxna patienter som återinsjuknat i C3G eller IC-MPGN efter transplantation. Studiedeltagarna randomiserades 3:1 till att få antingen pegcetacoplan eller behålla standardbehandling i 12 veckor, och från vecka 13 till vecka 52 kommer samtliga att få pegcetacoplan. Studiens primära effektmått är andelen patienter med minskad C3c-infärgning på njurbiopsi efter 12 veckors behandling med pegcetacoplan. De sekundära effektmåtten inkluderar en utvärdering av säkerheten, andelen patienter med minskning av C3c-infärgning på njurbiopsi efter 52 veckors behandling och andelen patienter som uppnådde minst 50 procents minskning av proteinuri.

Om fas 3-studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](#)) är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie avsedd att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos cirka 90 patienter från tolv års ålder med primär IC-MPGN eller C3G. Det är den enda studien som inkluderar såväl patienter med medfödda njursjukdomar som patienter som återinsjuknat efter att ha genomgått en njurtransplantation. Studiedeltagarna randomiseras till att få antingen 1 080 mg pegcetacoplan eller placebo två gånger i veckan under 26 veckor. Efter den randomiserade och kontrollerade perioden om 26 veckor går patienterna vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare får pegcetacoplan. Studiens primära effektmått är den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten (uPCR) vid vecka 26 jämfört med baslinjen. UPCR är en viktig indikator för njurfunktionen.

Om immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) och C3 glomerulopati (C3G)

IC-MPGN och C3G är sällsynta, funktionsnedsättande njursjukdomar som drabbar uppskattningsvis 5 000 människor i USA och upp till 8 000 i Europa.³ Det finns inga godkända behandlingar för sjukdomarna, och symtomen omfattar blod i urinen, mörkt skummande urin på grund av förekomst av äggvita, svullnad, och högt blodtryck.⁴ Cirka hälften av alla personer som lever med IC-MPGN och C3G drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos.¹ Det finns ingen tillgänglig behandling som riktar sig mot den underliggande komplementmedierade mekanismen i dessa sjukdomar och som förhindrar förlust av

njurfunktionen före eller efter en njurtransplantation. Även om IC-MPGN anses vara en distinkt sjukdom från C3G, är den underliggande orsaken och förloppet av de två sjukdomarna anmärkningsvärt lika och inkluderar överaktivering av komplementsystemet, med överdriven ansamling av C3-nedbrytningsprodukter i njurarna som orsakar inflammation och organskador.⁵⁻⁹

Om pegcetacoplan vid sällsynta sjukdomar

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 utvärderas för flera sällsynta sjukdomar inom hematologi och nefrologi. Pegcetacoplan är godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som EMPAVELI®/Aspaveli® i USA, EU och andra marknader världen över.

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.

Sobi®

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta och svåra sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi och nischindikationer, och har cirka 1 800 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. Sobis intäkter för 2022 uppgick till 18,8 miljarder SEK. Aktien (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på www.sobi.com, [LinkedIn](#) and [YouTube](#)

Kontakt

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).

Tobias Cottman

Head of Communication and Investor Relations (tillförordnad)

Referens

1. C3 glomerulopathy. National Institute of Health, Genetics Home Reference. <https://ghr.nlm.nih.gov/condition/c3-glomerulopathy#resources>. Accessed November 21, 2019.
2. Caravaca-Fontán F, Díaz-Encarnación M, Cabello V, et al. Longitudinal change in proteinuria and kidney outcomes in C3 glomerulopathy. *Nephrol Dial Transplant*. 2022;37(7):1270-1280. doi:10.1093/ndt/gfab075
3. Data on file using literature consensus.
4. Complement 3 Glomerulopathy (C3G). National Kidney Foundation Website. <https://www.kidney.org/atoz/content/complement-3-glomerulopathy-c3g>. Accessed November 21, 2019.
5. Smith RJH, et al. *Nat Rev Nephrol*. 2019;15:129-143.
6. Pickering MC, et al. *Kidney Int*. 2013;84:1079-1089.
7. Cook HT, Pickering MC. *J Am Soc Nephrol*. 2018;29:9-12.
8. Donadelli et al. *Front Immunol*. 2018;9:2329.
9. Noris M, Donadelli R, Remuzzi G. Autoimmune abnormalities of the alternative complement pathway in membranoproliferative glomerulonephritis and C3 glomerulopathy. *Pediatr Nephrol*. 2019 Aug;34(8):1311-1323.