

## Aspaveli® (pegcetacoplan) godkänt i Europa för användning hos behandlingsnaiva vuxna patienter med PNH

Sobi® meddelar idag att Europeiska kommissionen (EC) har godkänt att indikationen för Aspaveli® (pegcetacoplan) utvidgas till att även gälla behandling av vuxna patienter med paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som har hemolytisk anemi.

Aspaveli är sedan tidigare godkänt i Europa för behandling av vuxna med PNH som är anemiska efter behandling med en C5-hämmare under minst tre månader. Aspaveli blir nu den första C3-hämmaren som godkänts som första linjens behandling av PNH i Europa, och som genom sin unika verkningsmekanism erbjuder effektiva behandlingsresultat genom förbättring av hemoglobin och andra kliniska markörer.

"Dagens godkännande framhäver de robusta kliniska data som stödjer Aspavelis effekt- och säkerhetsprofil, och ger vårdpersonal och patienter större möjligheter att effektivt behandla PNH", säger Lydia Abad-Franch MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Patienter i Europa kommer nu att kunna påbörja behandling med Aspaveli vid diagnos eller byta från sin nuvarande behandling med C5-hämmare om de visar tecken på hemolytisk anemi. Denna viktiga milstolpe visar på vårt engagemang att förbättra behandlingsalternativen för de som drabbats av detta sällsynta och komplexa tillstånd."

PNH är en sällsynt, kronisk och livshotande blodsjukdom där okontrollerad komplementaktivering leder till att syrebärande röda blodkroppar bryts ned. 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 förbättringar vid behandling med C5-hämmare visar tvärsnittsstudier som genomförts i EU och USA att upp till 86 procent av patienter med PNH som behandlats med C5-hämmare förblir anemiska<sup>1,2,3</sup>.

Godkännandet av den utvidgade indikationen är baserat på data från APL2-308 (PRINCE, NCT04085601), en öppen, randomiserad, jämförande studie som inkluderade patienter med PNH som inte hade behandlats med någon komplementhämmare inom tre månader före screening och med hemoglobinnivåer under den nedre gränsen för normalvärdet samt nivåer av laktatdehydrogenas  $\geq 1,5$  gånger den övre gränsen för normalvärdet. Effekt och säkerhet av Aspaveli utvärderades under en period om 26 veckor jämfört med standardbehandling (t.ex. transfusioner, kortikosteroider, kosttillskott som järn, folat och vitamin B12; exklusive komplementhämmare).<sup>4,5</sup>

Aspaveli är det europeiska varumärket för pegcetacoplan. Även i USA är pegcetacoplan godkänt för behandling av vuxna med PNH, där det kommersialiseras av Apellis och marknadsförs under namnet Empaveli®.

### 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 för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som Aspaveli/Empaveli i USA, EU och andra marknader världen över. Aspaveli/Empaveli utvärderas även för andra sällsynta sjukdomar inom hematologi och nefrologi.

**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 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 2023 uppgick till 22,1 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på [sobi.com](https://sobi.com) och [LinkedIn](#).

**Kontakter**

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

**Referens**

1. Dingli D, Matos JE, Lehrhaupt K, et al. The burden of illness in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria receiving treatment with the C5-inhibitors eculizumab or ravulizumab: results from a US patient survey. *Ann Hematol* 2022;101(2):251-63.
2. de Fontbrune F, Burmester P, Piggin M, et al. The burden of illness of patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria receiving C5 inhibitors: clinical outcomes and medical encounters from the patient perspective. *Hematology* 2022;27(1):1140-51.
3. Panse J, de Fontbrune FS, Burmester P, et al. The burden of illness of patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria receiving C5 inhibitors in France, Germany and the United Kingdom: Patient-reported insights on symptoms and quality of life. *Eur J Haematol* 2022;109(4):351-63.
4. Wong RSM, Navarro-Cabrera JR, Comia NS, et al. Pegcetacoplan controls hemolysis in complement inhibitor-naïve patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood Adv* 2023;7(11):2468-78;
5. ClinicalTrials.gov. A Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegcetacoplan in Patients With PNH. Retrieved January 18, 2024 from <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04085601>