

Positiva data från fas 2-studien NOBLE med pegcetacoplan presenterade som "late-breaker" vid ERA-kongressen

- *Den snabba minskningen av sjukdomsaktivitet som uppvisades efter 12 veckor bibehölls efter ett år*
- *55% av patienterna hade ingen (noll) C3c-infärgningsintensitet, vilket tyder på att C3c-deponeringarna eliminerats.*
- *Resultaten lyftes fram i en s.k. late-breaking muntlig presentation vid European Renal Associations (ERA) kongress*

Sobi® och Apellis Pharmaceuticals, Inc. meddelade idag positiva ettårsresultat från fas 2-studien NOBLE, där systemisk pegcetacoplan utvärderas som en målinriktad C3 terapi vid behandling av återfall i C3 glomerulopati (C3) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) efter transplantation. Resultaten presenterades under en s.k. late-breaking muntlig presentation vid European Renal Associations (ERA) kongress i Stockholm den 23–26 maj.

"Det är glädjande att se att behandling med pegcetacoplan snabbt minskade sjukdomsaktiviteten på bara 12 veckor och sedan bibehöll effekten på lång sikt", säger Fadi Fakhouri, MD, PhD, studieförfattare och professor i nefrologi vid CHUV Lausanne, Schweiz. "Många patienter med C3G eller IC-MPGN kommer sannolikt att återinsjukna efter en transplantation, vilket innebär att de riskerar att behöva ytterligare en njurtransplantation eller dialys. Det finns ett enormt behov av en behandling som är inriktad på orsaken till dessa sjukdomar, och dessa hittills oöverträffade resultat är mycket uppmuntrande."

Resultat efter ett år för de 11 patienter som behandlades med pegcetacoplan och där data finns tillgänglig:

- Sju (64%) av patienterna uppvisade en minskning av C3c-infärgningsintensiteten med två eller flera storleksordningar från baslinjen.
- Sex (55%) av patienterna, inklusive tre patienter med IC-MPGN, hade ingen (noll) infärgningsintensitet, vilket tyder på att C3c-deponeringarna eliminerats.
- I överensstämmelse med minskningen av C3c-infärgningen uppvisade sju patienter (64%) ingen (noll) inflammation, mätt som aktivitetspoäng enligt C3G-histologiskt index.

Förhöjda nivåer av C3c-deponeringar är en markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. Eliminering av både C3c-deponeringar och inflammation tillåter njuren att återhämta sig och förlänger dess funktion. Dessutom visade behandling med pegcetacoplan bestående förbättringar av viktiga sjukdomsmått inklusive proteinuri och fortsatt stabilisering av njurfunktionen.

"Efter transplantation får patienter med C3G och IC-MPGN ofta sjukdomsåterfall, så behovet av ett terapeutiskt tillvägagångssätt som tar itu med grundorsaken till dessa tillstånd kan inte överskattas", säger Lydia Abad-Franch MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på

Sobi. "Dessa resultat stärker vår övertygelse om pegcetacoplans potential att adressera dessa sällsynta, allvarliga och livshotande tillstånd i både transplanterade och icke-transplanterade njurar."

"Resultaten från NOBLE tyder vidare på att pegcetacoplan behandlar den underliggande orsaken till dessa sjukdomar genom att direkt rikta sig mot C3", säger Caroline Baumal, MD, Chief Medical Officer på Apellis. "Vår pågående fas 3-studie VALIANT utvärderar potentialen av pegcetacoplan hos alla patienter med dessa sällsynta njursjukdomar, och vi ser fram emot att meddela de övergripande resultaten senare i år."

Pegcetacoplan tolererades generellt väl. Majoriteten av biverkningarna var milda till måttliga och överensstämde med tidigare rapporterade resultat.

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. Zand L, et al Clinical findings, pathology, and outcomes of C3GN after kidney transplantation. J Am Soc Nephrol. 2014 May;25(5):1110-7. doi: 10.1681/ASN.2013070715. Epub 2013 Dec 19.
3. Data on file using literature consensus.

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 som återinsjuknat i C3G eller IC-MPGN efter transplantation. Studiedeltagarna randomiserades i förhållandet 3:1 till att få antingen pegcetacoplan och standardbehandling (IC-MPGN: n=2; C3G: n=8) eller stå kvar på standardbehandling (IC-MPGN: n=1; C3G: n=2) i 12 veckor, och från vecka 13 till 52 fick samtliga patienter pegcetacoplan. Studiens primära effektmått var 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 samt andelen patienter som uppnådde minst 50 procents minskning av proteinuri.

Om 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 C3G eller primär IC-MPGN. 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 1080 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.

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

C3G och primär IC-MPGN är sällsynta och svåra njursjukdomar som kan leda till njursvikt. Förhöjda nivåer av C3c-deponeringar är en markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. Det finns inga behandlingar som är inriktade på den underliggande orsaken till dessa sjukdomar. Cirka hälften av alla personer som lever med C3G och IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller livslång dialys.¹ Dessutom kommer två tredjedelar av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.² Sjukdomarna beräknas drabba 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.³

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 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.

Om Apellis

Apellis Pharmaceuticals, Inc. är ett globalt biofarmaceutiskt företag som genom att kombinera nydanande vetenskap och medkänsla verkar för att utveckla livsförändrande behandlingar för några av de mest utmanande sjukdomarna. De introducerade den första nya läkemedelsklassen för behandling av komplementsystemet på 15 år och har nu två godkända läkemedel som riktar sig mot C3. Dessa inkluderar den första behandlingen någonsin för geografisk atrofi, en ledande orsak till blindhet runt om i världen. Detta förmodas bara vara början på potentialen för målinriktad C3-behandling vid många allvarliga retinala, sällsynta, och neurologiska sjukdomar. För mer information, besök <http://apellis.com>. eller följ dem på [X \(tidigare twitter\)](#) och [LinkedIn](#).

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 och LinkedIn.

Kontakter

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