

Resultat från den pivotala studien VALIANT presenterade vid Kidney Week visar behandlingseffekt med pegcetacoplan hos patienter med C3G / primär IC-MPGN

- *Statistiskt signifikant 68 % ($p < 0,0001$) minskning av proteinuri jämfört med placebo; en minskning kunde observeras redan vid vecka 4*
- *Alla sekundära effektmått visade fördel för behandling med pegcetacoplan, inklusive:*
 - *Stabiliserad eGFR, ett viktigt mått på njurfunktionen*
 - *71% av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppnådde en C3c-infärgningsintensitet på noll, vilket tyder på att C3c-deponeringarna eliminerats*
- *Resultaten är konsekventa för samtliga subgrupper med C3G och primär IC-MPGN, ungdomar och vuxna patienter, med sjukdom i icke-transplanterade och transplanterade njurar*

Sobi® (STO: SOBI) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. meddelade idag att detaljerade data från fas 3-studien VALIANT redovisades som en muntlig presentation under sessionen för kliniska studier som bedöms ha stor påverkan, High-Impact Clinical Trials, vid 2024 års Kidney Week-konferens, anordnad av American Society of Nephrology (ASN). Resultaten framhäver potentialen för behandling med systemisk pegcetacoplan vid C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN), vilka är sällsynta, svåra njursjukdomar.

"Pegcetacoplan är den enda behandlingen som ger betydande och kliniskt meningsfulla effekter på alla viktiga sjukdomsmarkörer: proteinuri, stabilisering av eGFR och C3c-infärgning", säger Carla Nester, M.D. MSA, FASN, huvudprövare för studien VALIANT, professor i internmedicin och pediatrik, och verksamhetschef för pediatrik nefrologi, University of Iowa Stead Family Children's Hospital. "C3G och primär IC-MPGN drabbar ofta patienter redan i tonåren och leder ofta till antingen en njurtransplantation eller livslång dialys, vilket innebär att det finns ett akut behov av en godkänd behandling som kan förlänga njurfunktionen."

Statistiskt signifikant 68 % minskning av proteinuri i en bred studiepopulation, minskningen observerades redan vid vecka 4

Vid vecka 26 uppvisade patienter som behandlades med pegcetacoplan en statistiskt signifikant och kliniskt meningsfull minskning av proteinuri (den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten) med 68.1% ($p < 0,0001$) jämfört med placebo, båda som tillägg till grundbehandling. En minskning av proteinuri observerades redan vid vecka 4 och höll i sig under den sex månader långa behandlingsperioden. Minskningen av proteinuri var konsekvent för alla subgrupper med C3G och primär IC-MPGN, ungdomar och vuxna patienter, med sjukdom i icke-transplanterade och transplanterade njurar.

Pegcetacoplan stabiliserade eGFR och uppvisade en betydande minskning av C3c-infärgning

Patienter som behandlades med pegcetacoplan uppnådde stabilisering av estimerad glomerulär filtrationshastighet (eGFR), ett viktigt mått på njurfunktionen, med en skillnad om +6,3 ml/min/1,73 m² (95% KI 0,5, 12,1; nominellt p-värde =0,03) jämfört med placebo under en sexmånadersperiod.

Dessutom uppvisade en väsentlig andel av patienterna som behandlades med pegcetacoplan också en betydande minskning av C3c-infärgningens intensitet. Förhöjda nivåer av C3c-deponeringar är en viktig markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt.

- 74,3% av patienterna i pegcetacoplan-gruppen och 11,8% i placebogruppen uppnådde en minskning av C3c-infärgningsintensiteten med två eller fler storleksordningar från baslinjen, vilket resulterade i 27 gånger högre odds för att uppnå denna minskning med pegcetacoplan (nominellt p-värde <0,0001).
- 71,4% av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppnådde en C3c-färgningsintensitet på noll, vilket tyder på att C3c-deponeringarna eliminerats.

"C3G och primär IC-MPGN kan ha en allvarlig inverkan på patienters liv och leder ofta till njursvikt. Resultaten som presenterades vid ASN framhäver ytterligare pegcetacoplans potential att bevara njurfunktionen och tillgodose dessa medicinska behov. Vi vill rikta ett stort tack till studiedeltagarna, deras närstående och den engagerade vårdpersonalen som gjort denna studie möjlig", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D, Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi.

Samtliga sekundära effektmått visade fördel för behandling med pegcetacoplan

Utöver de positiva resultaten för proteinuri, eGFR och C3c-infärgning, visade pegcetacoplan statistisk signifikans avseende de huvudsakliga sekundära effektmåtten i det sammansatta renala effektmåttet som kombinerar minskning av proteinuri och stabilisering av eGFR och en minskning av proteinuri om minst 50% jämfört med baslinjen, samt en numerisk förbättring av total poäng för sjukdomsaktivitet.

Under den randomiserade, kontrollerade behandlingsperioden om 26 veckor uppvisade pegcetacoplan gynnsam säkerhet och tolerabilitet samt en hög följsamhetsgrad, i enlighet med dess fastställda profil. Förekomsten av behandlingsrelaterade biverkningar (84,1% hos pegcetacoplan jämfört med 93,4% hos placebo), allvarliga biverkningar (9,5% jämfört med 9,8%), svåra biverkningar (4,8% jämfört med 6,6%) och biverkningar som ledde till studieavbrott (1,6% jämfört med 1,6%) var likartade mellan grupperna som fick pegcetacoplan och placebo. Det förekom inga fall av meningocockmeningit eller allvarliga infektioner orsakade av inkapslade bakterier.

Patienter som slutfört studien VALIANT uppfyller inklusionskriterierna för den långsiktiga förlängningsstudien VALE.

Sobi planerar att lämna in en ansökan om marknadsgodkännande till den europeiska läkemedelsmyndigheten, EMA, under 2025. Apellis planerar att lämna in en kompletterande ansökan om marknadsgodkännande till den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, i början av 2025.

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05067127)) är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie som utformats för att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos 124 patienter från tolv års ålder med C3G eller primär IC-MPGN. Det är den största enskilda studien som genomförts i dessa patientpopulationer och den enda studien som inkluderar patienter med såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar, både ungdomar och vuxna. Studiedeltagarna randomiserades till att få antingen pegcetacoplan eller placebo två gånger i veckan under 26 veckor. Efter den randomiserade och kontrollerade perioden om 26 veckor kan patienterna gå vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare får pegcetacoplan. Studiens primära effektmått var den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten (uPCR) vid vecka 26 jämfört med baslinjen.

Om C3-glomerulopati (C3G) och primär 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 viktig markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. Det finns inga behandlingar som riktar sig mot den underliggande orsaken till dessa sjukdomar. Cirka hälften av alla personer som lever med C3G och primär IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller livslång dialys.¹ Dessutom kommer 90 procent av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.² Sjukdomarna beräknas drabba runt 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 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. Intäkterna för 2023 uppgick till 22,1 miljarder SEK. Aktien (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](#).