

Pressmeddelande

Stockholm, 5 november 2025

Sobi presenterar nya ettårsdata om effekten av pegcetacoplan vid C3G och primär IC-MPGN samt nya utfallsdata för NASP på ASN Kidney Week

Sobi® (STO: SOBI) meddelade idag att data för Aspaveli/Empaveli vid C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) samt NASP vid okontrollerad gikt kommer att presenteras vid ASN Kidney Week 2025, 5–9 november i Houston, Texas, USA. Sammantaget kommer bolaget att medverka vid ASN Kidney Week med en muntlig och sex posterpresentationer om Aspaveli/Empaveli, samt tre posterpresentationer om NASP.

Nya ettårsdata bekräftar den robusta och varaktiga effekten av Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan) hos patienter med C3G och primär IC-MPGN.

"Patienter som fick Aspaveli/Empaveli bibehöll minskningen av proteinuri, oavsett användning av immunsuppressiva läkemedel och oberoende av proteinurinivån vid baslinjen. Vid vecka 26 uppnådde en tredjedel av patienterna fullständig remission av proteinuri jämfört med 3 procent av patienterna som fick placebo. Dessa fördelar bibehölls under hela ettårsperioden, och patienter som bytte från placebo uppvisade liknande förbättringar. Detta visar på potentialen hos Aspaveli/Empaveli att väsentligt förändra vården för personer som lever med dessa sällsynta sjukdomar och som löper hög risk för njursvikt", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs, och Chief Medical Officer på Sobi.

Sobi kommer också att presentera data som visar att NASP upprätthöll en stabil njurfunktion under hela studieperioden och att en större andel patienter med okontrollerad gikt och kronisk njursjukdom i stadium 3 uppvisade förbättrat CKD-stadium jämfört med placebo. Behandling med NASP ledde dessutom till en minskning av giktrelaterade kliniska manifestationer och tolererades generellt väl.

Viktiga data som presenteras på ASN Kidney Week 2025

Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan)	
	(tider i amerikansk centraltid, CT)
Pegcetacoplan for 52 weeks results in sustained proteinuria reduction to remission (≤ 0.5 g/g) and normalisation (≤ 0.2 g/g): Phase 3 VALIANT trial Presenting author: Carla M. Nester, MD, MSA, FASN	Muntlig presentation Session: Glomerular Targeted Therapies: The New Era Datum: 8 november 2025 Tid: 4:50 PM - 5:00 PM Plats: Room 310A, Convention Center
Pegcetacoplan for adolescents and adults with C3 glomerulopathy or primary immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis: enrolment status of the VALE extension	Posterpresentation Session: Informational Posters- 1 Datum: 6 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center

Pressmeddelande

Stockholm, 5 november 2025

Presentation Author: <i>Elijah Khankin, MD</i> Pegcetacoplan for 52 weeks maintained proteinuria reduction regardless of immunosuppressant use or nephrotic range proteinuria at baseline: VALIANT subgroup analysis Presenting Author: <i>Carla M. Nester MD; MSA, FASN</i>	Posterpresentation Session: Glomerular Clinical Trials: From Data to Impact Datum: 7 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
Pegcetacoplan for 52 weeks maintains proteinuria reduction and eGFR stabilisation for pediatric patients: Phase 3 VALIANT subgroup analysis Presenting author: <i>Larry A. Greenbaum, MD</i>	Posterpresentation Session: Pediatric Nephrology: CKD, ESKD and Glomerular Diseases Datum: 7 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
Human factors validation of an on-body autoinjector for pegcetacoplan demonstrates ease of use by adolescents with C3 glomerulopathy/primary immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis Presenting author: <i>Eliya Khankin, MD</i>	Posterpresentation Session: Glomerular Outcomes: From Proteinuria to Prognosis Datum: 7 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
Clinical efficacy of Pegcetacoplan versus Iptacopan in patients with C3 Glomerulopathy: Indirect Treatment Comparisons Presenting author: <i>Bradley P Dixon, MD</i>	Posterpresentation Session: Glomerular Management: Real-World Lessons and Emerging Therapies Datum: 7 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
A thematic analysis of patient perspectives on care and unmet needs in C3G and primary IC-MPGN Presenting author: <i>Sayna Nourouzi, MD</i>	Posterpresentation Session: Glomerular Research: Design, Registries, Surveys and Epidemiology Datum: 8 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
NASP	
Management of Uncontrolled Gout Among Nephrology Professionals: Findings from a	Posterpresentation

Pressmeddelande

Stockholm, 5 november 2025

Medical Chart Audit Presenting author: Bhavisha Desai, PharmD, Bhavisha Desai, PharmD, Sobi	Session: CKD: Epidemiology, Risk Factors, and Other Conditions [PO2301-1] Datum: 6 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
Effect of Nanoencapsulated Sirolimus plus Pegadricase (NASP) on Kidney Outcomes: Results from the Phase 3 DISSOLVE Studies Presenting author: Minesh Rajpal, MD Southwest Kidney Institute, Phoenix, AZ, USA	Posterpresentation Session: CKD: Therapies, Innovations, and Insights [PO2302-1] Datum: 6 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center
Nanoencapsulated Sirolimus Plus Pegadricase (NASP) Reduces Gout Clinical Manifestations in Patients with Uncontrolled Gout (UG) and Stage 3 CKD Presenting authors: Nissreen Elfadawy, MD, University Hospitals Geauga Medical Center, Chardon, OH, and Case Western Reserve University, Cleveland, OH, USA	Posterpresentation Session: CKD: Therapies, Innovations, and Insights [PO2302-1] Datum: 6 november 2025 Tid: 10:00 AM - 12:00 PM Plats: Exhibit Hall, Convention Center

Om Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan)

Aspaveli/Empaveli (pegcetacoplan) är en målinriktad behandling mot C3 och C3b som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3 och C3b kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Det är den första behandlingen som godkänts i USA för C3-glomerulopati (C3G) eller primär immunkomplex membranproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) hos patienter från 12 års ålder, för att minska proteinuri. Aspaveli/Empaveli är också godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) i USA, EU och andra marknader världen över, samt utvärderas för flera andra sällsynta sjukdomar.

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT (NCT05067127) var en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie som utvärderade effekt och säkerhet av Aspaveli/Empaveli (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 inkluderat både pediatrika och vuxna patienter med såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar. Studiedeltagarna randomiserades till att få antingen Aspaveli/Empaveli eller placebo två gånger i veckan under 26 veckor. Efter den randomiserade och kontrollerade perioden om 26 veckor kunde patienterna gå vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare fick Aspaveli/Empaveli. 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 (ICMPGN)

C3G och primär IC-MPGN är sällsynta och svåra njursjukdomar som kan leda till njursvikt. Förhöjda nivåer av C3-deponeringar är en viktig markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. 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 dialysbehandling.¹⁻³ Dessutom kommer 90 procent av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.⁴ Sjukdomarna beräknas drabba runt 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.⁵

Pressmeddelande

Stockholm, 5 november 2025

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 NASP

NASP är ett nytt läkemedel under utveckling med syfte att minska uratnivåerna i serum (sUA) hos personer som lever med okontrollerad gikt. Det kan potentiellt minska skadliga ansamlingar av urat i vävnaderna. Dessa kan, om de lämnas obehandlade, leda till funktionsnedsättande giktattacker och leddeformation. NASP administreras var fjärde vecka som en sekventiell, tvåkomponents infusionsbehandling bestående av tolerogen nanoencapsulated sirolimus (NAS) som minskar bildningen av anti-läkemedelsantikroppar (ADAs) och ett urikasenzym, pegadrikas (P), som minskar urinsyra i serum. Anti-läkemedels antikroppar, ADAs, utvecklas på grund av ett oönskat immunsvaret mot biologiska läkemedel, vilket kan minska behandlingens effektivitet och tolerabilitet. Detta är ett kvarstående problem för många behandlingsmetoder och sjukdomstillstånd, inklusive okontrollerad gikt.

Om okontrollerad gikt

Gikt är den vanligaste formen av inflammatorisk artrit och över 8,3 miljoner människor i USA har fått diagnosen. Gikt orsakas av höga nivåer urinsyra i kroppen som ansamlas runt lederna och andra vävnader vilket kan leda till akuta attacker med intensiv smärta. Cirka 200 000 personer i USA lider av okontrollerad gikt, med uratnivåer i serum (sUA) om över 6 mg/dL trots behandling med orala uratsänkande behandlingar. Detta leder till funktionsnedsättande attacker och tofi. Förhöjda uratnivåer i serum har också förknippats med sjukdomar i hjärta, kärlsystem, metabolism, njure och leder.

Sobi®

Sobi är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande innovationer och ger personer som lever med sällsynta sjukdomar en bättre vardag. Sobi har cirka 1 900 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. För 2024 uppgick intäkterna till 26 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:Sobi) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com och [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/sobi).

Kontakter

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

Referenser

1. Smith RJH, et al. Nat Rev Nephrol. 2019;15(3):129-143.
2. Servais A, et al. Kidney Int. 2012;82(4):454-464.
3. Zand L, et al. J Am Soc Nephrol. 2014;25(5):1110-1117.
4. Tarragón, B, et al. C3 Glomerulopathy Recurs Early after Kidney Transplantation in Serial Biopsies Performed within the First 2 Years after Transplantation. Clinical Journal of the American Society of Nephrology. August 2024; 19(8)1005-1015. doi: 10.2215/CJN.0000000000000474.
5. Data on file using literature consensus.