

Pressmeddelande

Stockholm, 4 december 2025

New England Journal of Medicine publicerar positiva fas 3-resultat för pegcetacoplan vid C3G och primär IC-MPGN

- *Betydande och kliniskt meningsfulla förbättringar observerades i samtliga tre huvudsakliga sjukdomsmarkörer – 68% minskning av proteinuri, stabilisering av njurfunktionen och väsentlig eliminering av C3-deposition.*
- *Samstämmiga resultat hos de olika patientgrupperna med C3G och primär IC-MPGN, vuxna och ungdomar, med sjukdom i icke-transplanterade och transplanterade njurar.*
- *Europeiska läkemedelsmyndigheten EMA och andra regulatoriska myndigheter granskar för närvarande pegcetacoplan för behandling av C3G och primär IC-MPGN.*

Sobi® (STO:SOBI) meddelar idag att New England Journal of Medicine (NEJM) har publicerat positiva resultat från fas 3-studien VALIANT som utvärderade pegcetacoplan vid C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN). Båda är allvarliga och sällsynta njursjukdomar.

"Pegcetacoplan har uppvisat väsentliga och kliniskt meningsfulla effekter på samtliga tre huvudsakliga sjukdomsmarkörer: minskning av proteinuri, eGFR-stabilisering och eliminering av C3-deposition. Mot bakgrund av den höga risken för njursvikt och behovet av njurtransplantation och dialys, har pegcetacoplan potential att göra en väsentlig skillnad för patienter med C3G och primär IC-MPGN" sade Fadi Fakhouri, MD, PhD, professor i nefrologi vid Lausannes universitet och huvudförfattare till artikeln.

Resultaten som publiceras i NEJM framhäver de positiva utfallen vid vecka 26, vilka var samstämmiga hos patienter med C3G och primär IC-MPGN, både hos ungdomar och vuxna, och med sjukdom i såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar.

- **Minskning av proteinuri:** Studien uppnådde sitt primära effektmått och visade en statistiskt signifikant minskning av proteinuri med 68% ($p < 0,0001$) hos patienter som behandlades med pegcetacoplan jämfört med placebo.
- **Stabilisering av njurfunktionen:** Patienter som behandlades med pegcetacoplan uppnådde stabilisering av njurfunktionen, med en skillnad på $+6,3 \text{ ml/min/1,73 m}^2$ jämfört med placebo (nominellt $p = 0,03$) mätt med estimerad glomerulär filtrationshastighet (eGFR).

- **Minskning av C3-infärgning:** Majoriteten av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppnådde en minskning av C3-infärgningens intensitet (nominellt $p < 0,0001$). 71% av patienterna som behandlades med pegcetacoplan uppnådde en C3-infärgningsintensitet på noll, vilket visar att C3-deponeringarna fullständigt eliminerats.

Pegcetacoplan visade en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil, i enlighet med dess fastställda profil.

Lydia Abad-Franch, MD, MBA, Head of Research, Development, and Medical Affairs (RDMA) och Chief Medical Officer på Sobi sade: "Data från fas 3-studien VALIANT visar pegcetacopans potential för patienter med C3G eller primär IC-MPGN, med en samstämmig effekt vid båda sjukdomarna och hos olika patientgrupper, inklusive ungdomar och unga vuxna där tillstånden är vanligast. Vår ansökan om denna utökade indikation lämnades in till Europeiska läkemedelsmyndigheten EMA i början av året, och vi hoppas snart kunna erbjuda patienter i Europa detta nya behandlingsalternativ."

Resultat från studien VALIANT vid 52 veckor [presenterades nyligen](#) vid kongressen för European Renal Association och ASN Kidney Week, och visade varaktiga förbättringar i väsentliga sjukdomsmarkörer samt en gynnsam säkerhets- och tolerabilitetsprofil.

Ett utlåtande gällande EU-godkännande väntas från EMA:s vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP) före årets slut.

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.²⁻⁴ Dessutom kommer 90 procent av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.⁵ Sjukdomarna beräknas drabba runt 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.¹

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](#)) var en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie som utvärderade 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 inkluderat både ungdomar och vuxna patienter med såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar. 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 kunde patienterna gå vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare fick pegcetacoplan. Studiens primära effektmått var den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten (UPCR) vid vecka 26 jämfört med baslinjen.

Om pegcetacoplan vid sällsynta sjukdomar

Pegcetacoplan är en målinriktad behandling mot C3/C3b som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3/C3b kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Läkemedlet är godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som EMPAVELI®/Aspaveli® i USA, EU och andra marknader världen över. Det är också godkänt för behandling av C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) i USA.

Om Sobis och Apellis samarbete

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®)

112 76 Stockholm

Besöksadress: Norra Stationsgatan 93A, Stockholm

08-697 20 00 | info@sobi.com | sobi.com

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 globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande behandlingar och ger människor 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](#).

Kontakter

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

Referens

1. Data on file using literature consensus.
2. Smith RJH, et al. *Nat Rev Nephrol*. 2019;15(3):129-143.
3. Servais A, et al. *Kidney Int*. 2012;82(4):454-464.
4. Zand L, et al. *J Am Soc Nephrol*. 2014;25(5):1110-1117.
5. 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.