

Pressmeddelande

Stockholm, 12 december 2025

Sobi får positivt CHMP-utlåtande för Aspaveli® (pegcetacoplan) vid behandling av C3G och primär IC-MPGN

- Cirka 8 000 personer i Europa lever med C3G eller primär IC-MPGN.
- Vid ett godkännande blir Aspaveli (pegcetacoplan) den första behandlingen av C3G och primär IC-MPGN för patienter från tolv års ålder.

Sobi® (STO: SOBI) meddelar idag att Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har antagit ett positivt utlåtande och rekommenderar att Aspaveli® (pegcetacoplan) beviljas marknadsföringstillstånd för behandling av vuxna och ungdomar med C3-glomerulopati (C3G) eller primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN).

Det positiva utlåtandet från CHMP går nu vidare till EU-kommissionen för beslut, vilket väntas under första kvartalet 2026. Sobi utvecklar systemiskt pegcetacoplan i samarbete med sin partner Apellis Pharmaceuticals, Inc.

"CHMP:s positiva utlåtande för Aspaveli är en viktig milstolpe för personer i Europa som lever med C3G eller primär IC-MPGN, två allvarliga och sällsynta njursjukdomar med begränsade behandlingsmöjligheter och hög risk för njursvikt", säger Lydia Abad-Franch, MD, Head of R&D and Medical Affairs och Chief Medical Officer på Sobi. "Om Aspaveli godkänns blir det den första behandlingen för patienter från tolv års ålder med dessa allvarliga njursjukdomar, som ofta drabbar ungdomar och unga vuxna. Vi ser fram emot EU-kommissionens beslut och möjligheten att göra verklig skillnad för patienter och deras närstående."

C3G och primär IC-MPGN är sällsynta njursjukdomar som drabbar cirka 8 000 patienter i Europa. Mer än hälften av alla personer som lever med C3G eller primär IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller dialysbehandling.¹⁻³

Rekommendationen från CHMP baseras på positiva resultat från fas 3-studien VALIANT, där Aspaveli visade fördelar i tre viktiga sjukdomsmarkörer, inklusive betydande minskning av proteinuri, stabilisering av njurfunktionen och väsentlig minskning av deposition av C3. Dessa positiva resultat publicerades nyligen i [The New England Journal of Medicine](#).⁶

Om C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN)
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 eller primär IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller dialysbehandling.¹⁻³ Dessutom kommer

cirka 90 procent av alla 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

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 pediatrika 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 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 globala marknader, samt för behandling av vuxna och ungdomar med C3-glomerulopati (C3G) eller primär immunkomplex membranproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN) i Saudiarabien, Schweiz och Sydkorea.

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. 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](https://www.linkedin.com/company/sobi).

Kontakter

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

Referens

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.
6. Fakhouri F, et al. Trial of Pegcetacoplan in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex MPGN. New England Journal of Medicine. Published December 2025.

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi®)

112 76 Stockholm
Besöksadress: Norra Stationsgatan 93A, Stockholm
08 697 20 00 | info@sobi.com | sobi.com