
Program

- 18.00 Velkommen ved GBS-CIDP Patientforening**
- 18.15 Thomas Harbo: Resultater fra International GBS Outcome Study**
- 19.00 Forfriskning**
- 19.40 Lennart Kjær Madsen: Smerter ved GBS**
- 20.10 Kort pause**
- 20.20 Thomas Harbo: Opdatering på, hvad der sker indenfor GBS/CIDP/MMN**
- 20.50 Afrunding ved GBS-CIDP Patientforening**

**Guillain Barre Syndrom.
Resultater fra International GBS Outcome Study (IGOS).
Et observationsstudie med informationer om sygdommen
fra indlæggelse og 3 år frem**

GBS-CIDP Patientforening aftenmøde

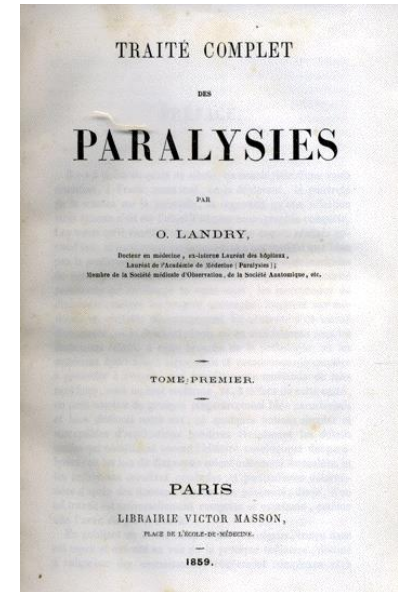
Torsdag den 9. oktober 2025

Overlæge og klinisk lektor Neurologisk Afdeling, AUH/AU

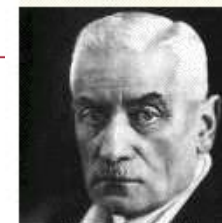
Thomas Harbo

Landry, Guillain, Barré & Stroll Syndrom

- Landry 1859
 - Opadstigende lammelser forudgået af feber, respiratorisk insufficiens og død
- Guillain, Barre and Stroll (Revue Neurologique 1916)
 - 2 soldater i første verdenskrig
 - Lammelse, manglende reflekser og rygmarsvæske med albuminocytologisk dissociation
- EAN/PNS kriterierne (JPNS/Eur J Neurol 2024)
 - Progredierende lammelser i arme og ben.
 - Fraværende eller afsvækkede reflekser.
 - Fortsat forværring ikke over 4 uger.



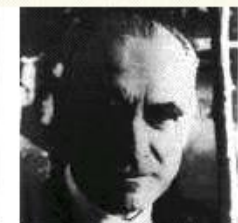
SUR UN SYNDROME DE RADICULO-NÉVRITE AVEC HYPERALBUMINOSE DU LIQUIDE CÉPHALO-RACHIDIEN SANS RÉACTION CELLULAIRE. REMARQUES SUR LES CARACTÈRES CLINIQUES ET GRAPHIQUES DES RÉFLEXES TENDINEUX,
par MM. GEORGES GUILLAIN, J.-A. BARRÉ et A. STROHL.



Georges Guillain



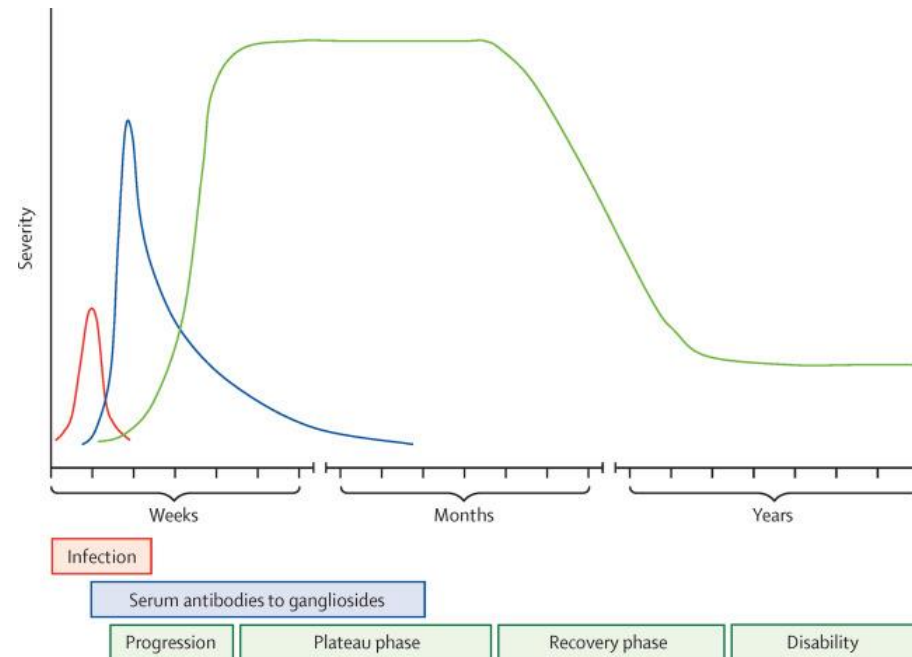
Jean-Alexandre Barré



André Strohl

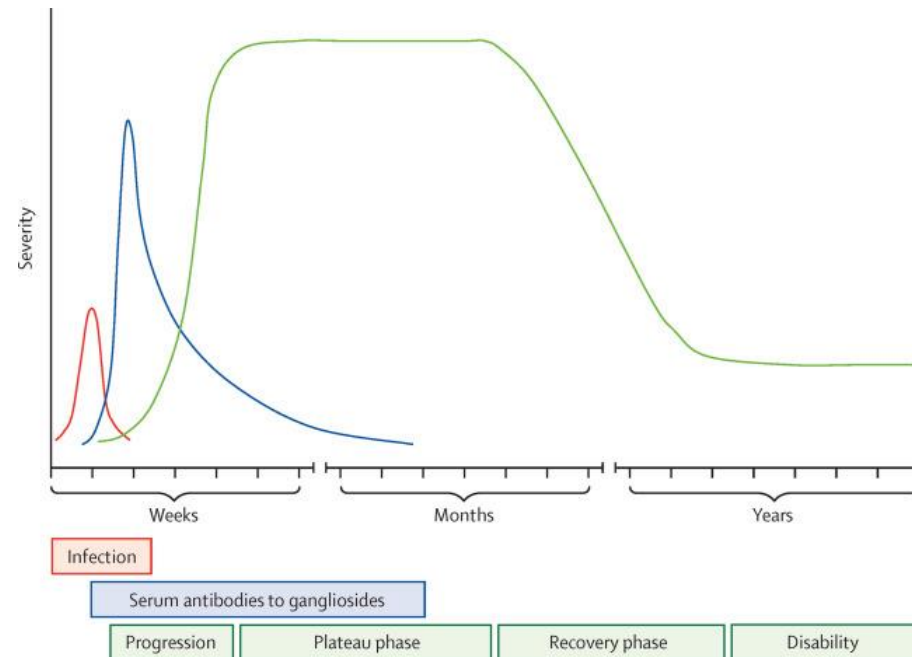
Klinisk præsentation

- Guillain Barré Syndrom (GBS) er en autoimmun polyneuropati med akut eller subakut debut med progression i op til 4 uger, efterfulgt af langsom restituering.
- GBS er hyppigt forudgået af en infektion, fx gastroenteritis eller øvre luftvejsinfektion.
- Andre udløsende årsager: Vacciner, operation, immun check point inhibitor, malign sygdom



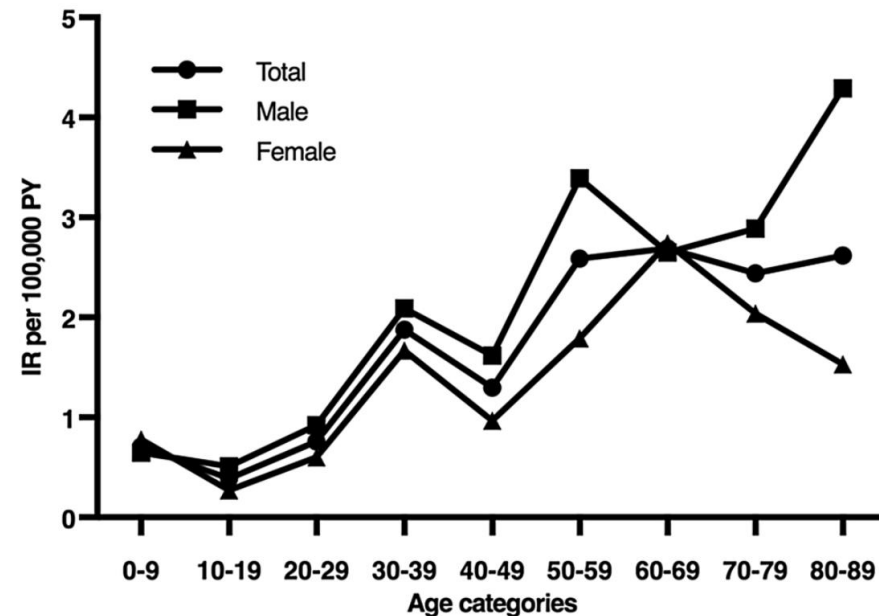
Klinisk præsentation

- Respirationsmusklerne kan blive svækkede og ca. 20% kommer i respirator.
- De fleste patienter kommer sig godt, men ca. 20% får varige som fx dropfod.
- Der er en dødelighed på under 5% i Danmark og andre udviklede lande med adgang til respirator behandling til alle
- Dødsårsager er typisk autonom dysfunktion med hjertearytmier, komplikationer og komorbiditet som pneumoni, sepsis og lungeemboli eller fravalg af respiratorbehandling hos meget syge og ældre.



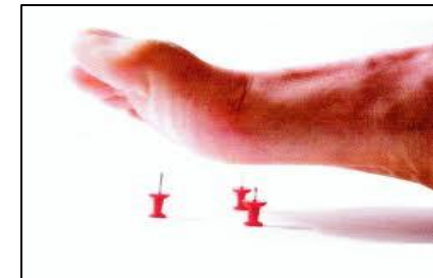
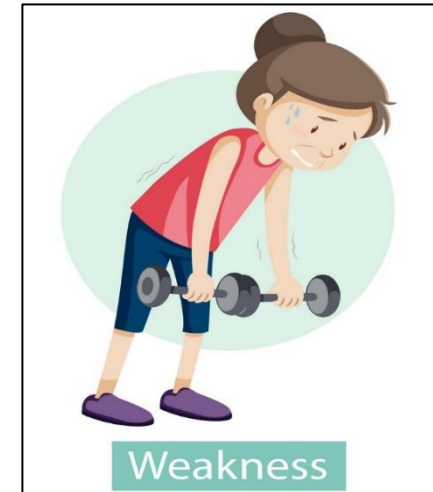
Forekomst

- GBS har en hyppighed på 1-2 per 100.000 personer per år (ca. 100 i DK).
- Man kan få sygdommen i alle aldre (barndom til seniet), men der er en stigende forekomst med højere alder
- Der er flere mænd end kvinder der får sygdommen 1,4:1 (mand:kvinde).
- Sæsonvariation med højere incidens i vintermånederne (DK)



Typiske symptomer og objektive fund

- Progredierende lammelser der rammer ben og arme symmetrisk distalt og proksimalt. Klassisk blev det beskrevet som opadstigende parese, dvs. det starter i fødderne og spredt sig op i resten af kroppen. Sådan er det ikke altid.
- Manglende sensibilitet og føleforstyrrelser, som kan være sovende fornemmelse i hænder og fødder, udstrålende smerter fra rygsøjlen til arme og ben eller brændende, stikkende og jagende nervesmerter.
- Manglende (eller afsvækkede reflekser)
- Kranienervelammelser. Hyppigst ifa. ansigtslammelse.

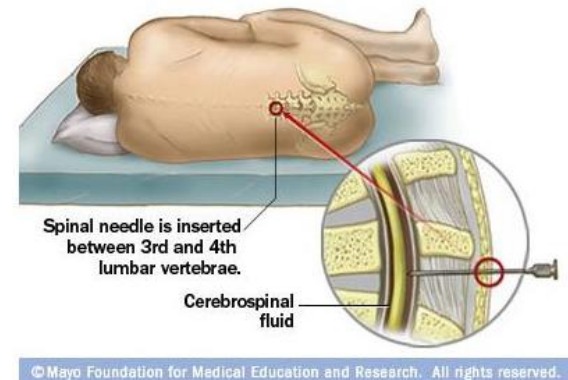


Diagnostik

Diagnosen stilles klinisk på baggrund af en typisk sygehistorie og objektive fund ifa. progredierende pareser over dage (maksimalt 4 uger) og fraværende eller afsvækkede reflekser. Derudover laves ofte følgende undersøgelser

Lumbalpunktur:

- Her ses typisk forhøjet protein og normalt celletal
- Det er også en vigtig undersøgelse mhp. at udelukke differentialdiagnoser, specielt neuroinfektion
- Forhøjet celletal og/eller normalt protein udelukke ikke GBS

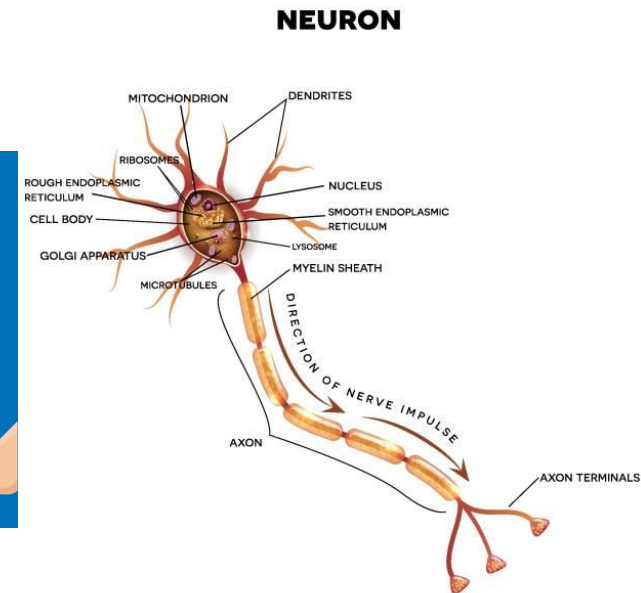
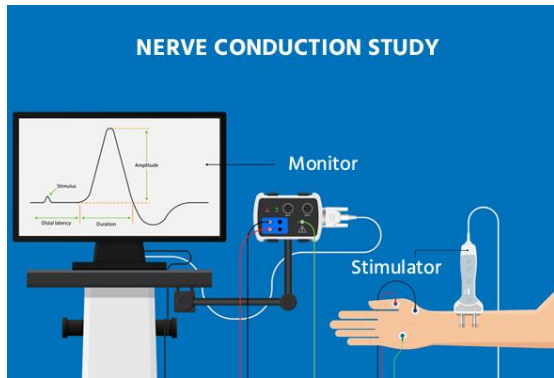


Diagnostik, cont

Diagnosen stilles klinisk på baggrund af en typisk sygehistorie og objektive fund ifa. progredierende pareser over dage (maksimalt 4 uger) og fraværende eller afsvækkede reflekser. Derudover laves ofte følgende undersøgelser

Elektrofysiologisk undersøgelser:

- Tegn på nervebetændelse
 - Myelinskeder
 - Nervefibre



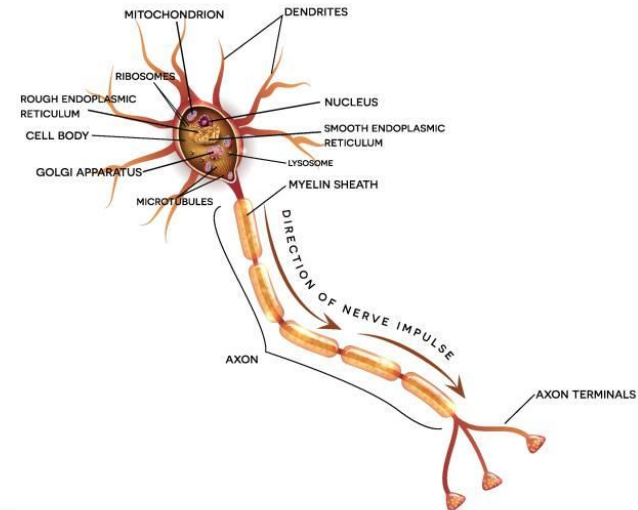
Diagnostik, cont

Diagnosen stilles klinisk på baggrund af en typisk sygehistorie og objektive fund ifa. progredierende pareser over dage (maksimalt 4 uger) og fraværende eller afsvækkede reflekser. Derudover laves ofte følgende undersøgelser

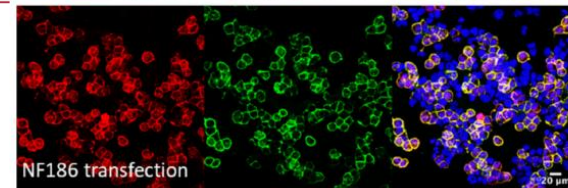
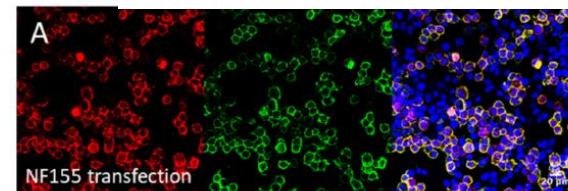
Auto-antistoffer (blodprøve)

- Ved nogle GBS varianter kan der påvises specifikke antistoffer mod nervefibre eller myelinsker ifa. gangliosid-antistoffer
- Nodale og paranodale antistoffer ved svær AIDP eller akut onset CIDP
 - NF155/186, Contactin 1 og 2, CASPR 1

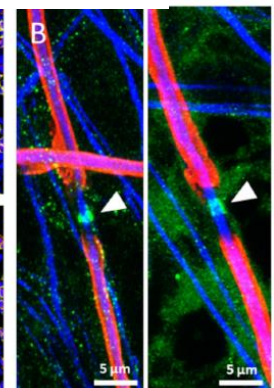
NEURON



Neurofa:



MBP



GBS varianter baseret på symptomer objektive fund, neurofysiologi og antistoffer

Motor-sensory variant

- Akut inflammatorisk demyeliniserende polyneruopati (AIDP). Den hyppigste variant i Danmark (ca. 70%).
 - Elektrofysiologi demyeliniserende
 - Antistoffer: Uspecifik og sjældent diagnostisk betydende
- Akut motor-sensory aksonal neuropathy (AMSAN), ca. 10%
 - Elektrofysiologi axonal
 - Antistoffer: Lidt hyppigere men fortsat uspecifik og sjældent diagnostisk betydende

Motor variant

- Akut motorisk axonal neuropati (AMAN), ca. 15%.
 - Elektrofysiologi axonalt
 - Antistoffer: **GM1a**, **GM1b**, GD1a, GalNAC-GD1a

GBS varianter baseret på symptomer objektive fund og antistoffer

Miller Fisher Syndrom, ca 5%

- Oftalmoplegi, arefleksi og ataxi
- ENG normalt eller uspecifikt
- CSV normal eller let forhøjet protein
- Antistoffer: **GQ1b**

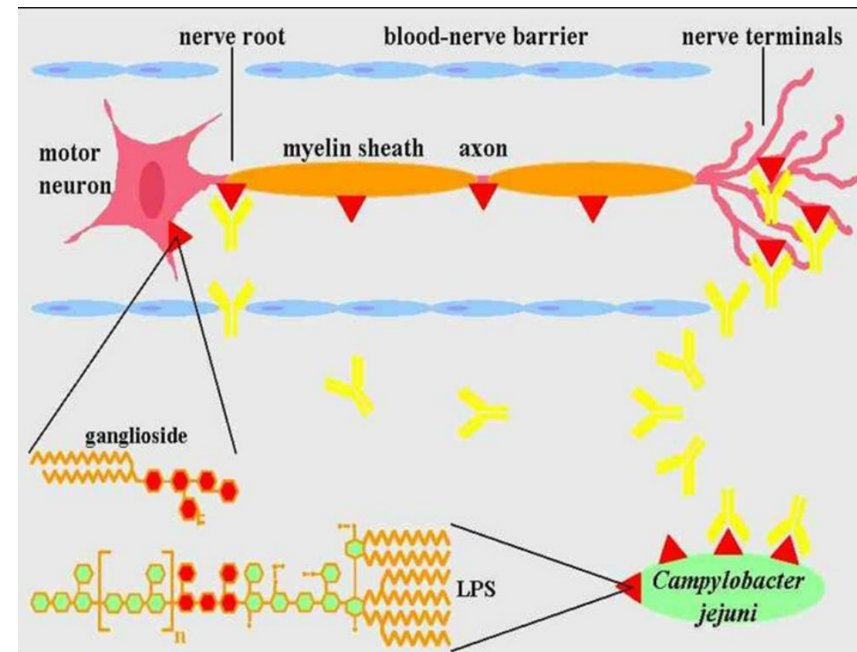
Sjælde varianter

- Pharyngeal-cervical-brachial
- Bilateral Facialisparese med distale paræstesier
- Pure sensory
- Pure autonomic failure
- Bicherstaff

Sygdomsmekanismer

Man ved ikke hvad der forårsager GBS, men det er en autoimmune sygdom og der er formentlig både cellulære og antistofafhængige sygdomsmekanismer

- Ved GBS-varianten AMAN har man en forholdsvis valid sygdomsmodel, hvor man ser et autoimmunt respons baseret på **"molecular mimicry"**
- AMAN forudgås ofte af gastroenteritis med *Campylobacter Jejuni*
- Der dannes antistoffer mod lipopolysaccharider (LPS) på bakterien
- LPS har antigene egenskaber der minder om gangliosid molekyler på axon og myelinskeder som antistofferne reagerer imod
- Der kan måles anti-gangliosid antistoffer (anti-GM1) hos patienter med AMAN
- Ved AIDP og andre varianter er det immunologiske respons ikke beskrevet

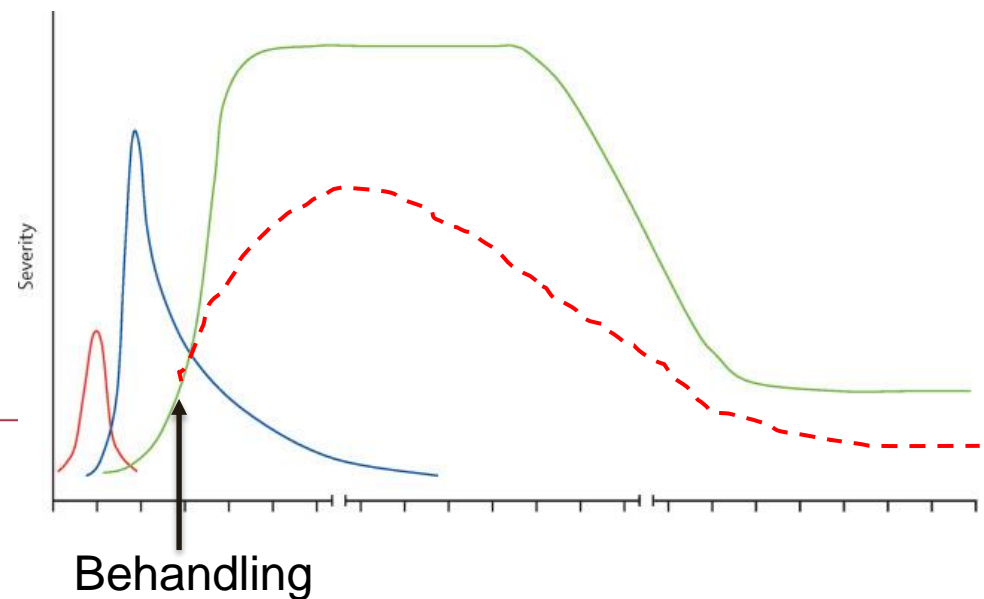
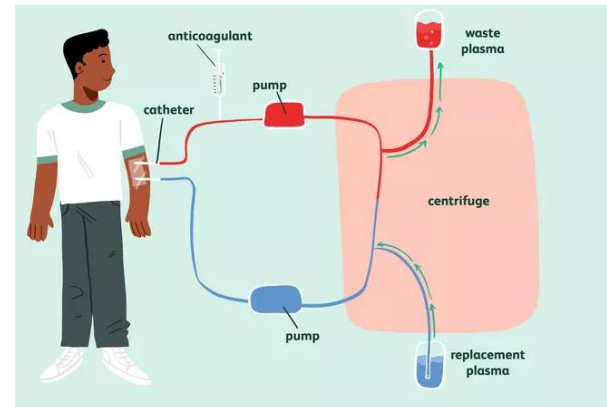


Behandling - immunmodulerende

Ved patienter som ikke er i stand til at gå uden hjælp og har haft symptomer i maksimalt 14 dage, er der evidens for behandling med:

Plasmaferese

- 3-5 plasmafereser indenfor 1-2 uger sammenlignet med placebo
- tid i respirator halveret
- median tid til gangfunktion 30 vs. 44 dage
- fuld remission efter 1 år 71% vs. 52%
- ikke forskel i dødelighed

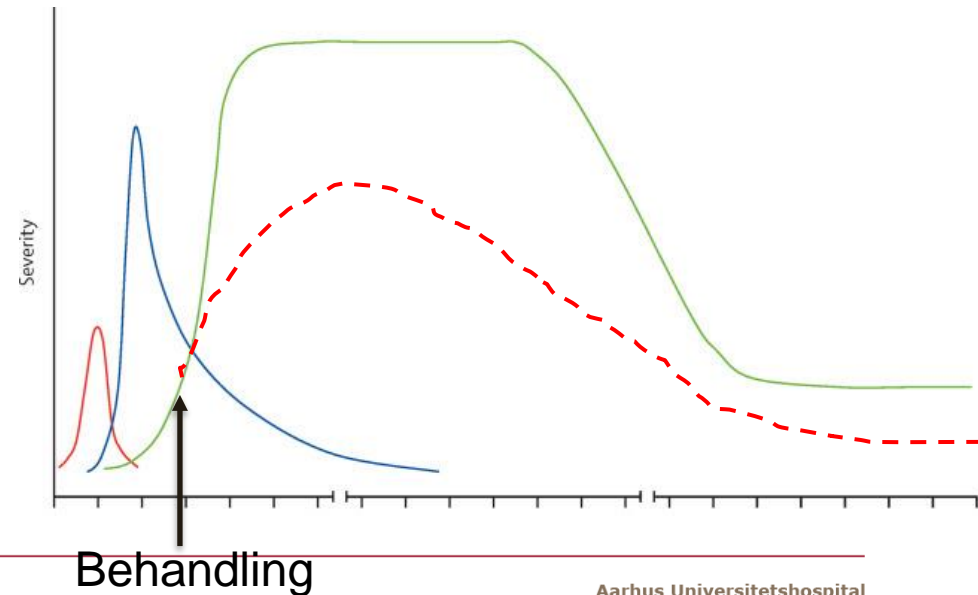


Behandling - immunmodulerende

Ved patienter som ikke er i stand til at gå uden hjælp og har haft symptomer i maksimalt 14 dage, er der evidens for behandling med:

Intravenøs immunglobulin

- Der findes ingen placebokontrollerede studier
- IVIG 2 g/kg over 5 dage vs. plasmaferese
 - Effekt som plasmaferese
 - Nemmere at administrere, færre komplikationer



Behandling - immunmodulerende

Ved patienter som ikke er i stand til at gå uden hjælp og har haft symptomer i maksimalt 14 dage, er der evidens for behandling med:

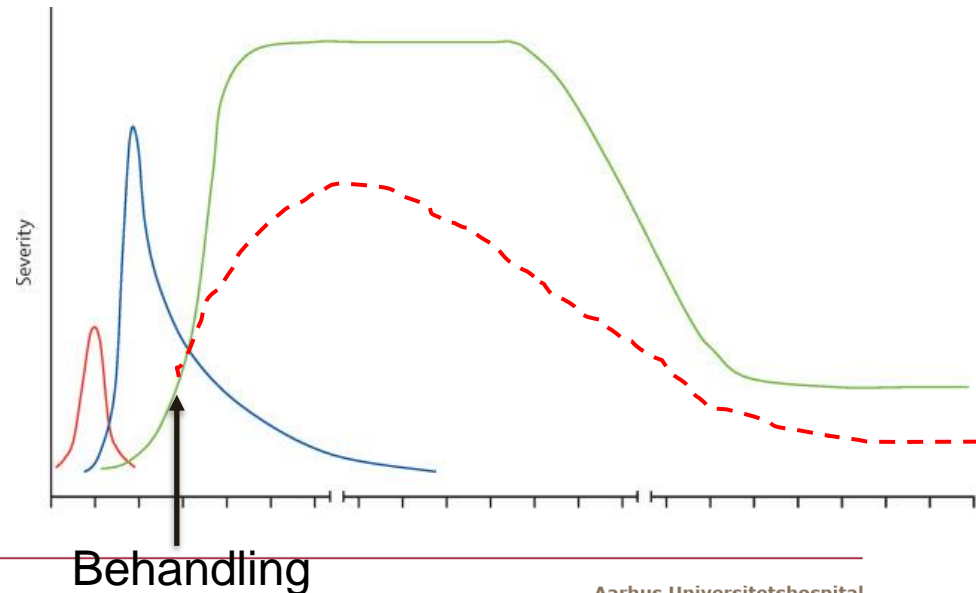
Intravenøs immunglobulin

- Der findes ingen placebokontrollerede studier
- IVIG 2 g/kg over 5 dage vs. plasmaferese
 - Effekt som plasmaferese
 - Nemmere at administrere, færre komplikationer



Bivirkninger

- Infusionsrelaterede: Forbigående hvp, kvalme, tp stigning, aseptisk meningitis
- Anafylaxi (allergi)
- Hæmolytisk anæmi, udslæt
- BT, tromboembolisk, hjertebelastning



Behandling - immunmodulerende

Binyrebarkhormon

- Har ingen effekt som mono-terapi eller add-on
- Øger muligvis dødeligheden

Rituximab

- Ved fulminant GBS neurofascin antistoffer (NF 155/186)

Ekstra IVIG til patienter med dårlig prognose

- Ingen effekt
- Øger tromboemboliske komplikationer

Plasmaferese og IVIG

- Ingen effekt over IVIG alene

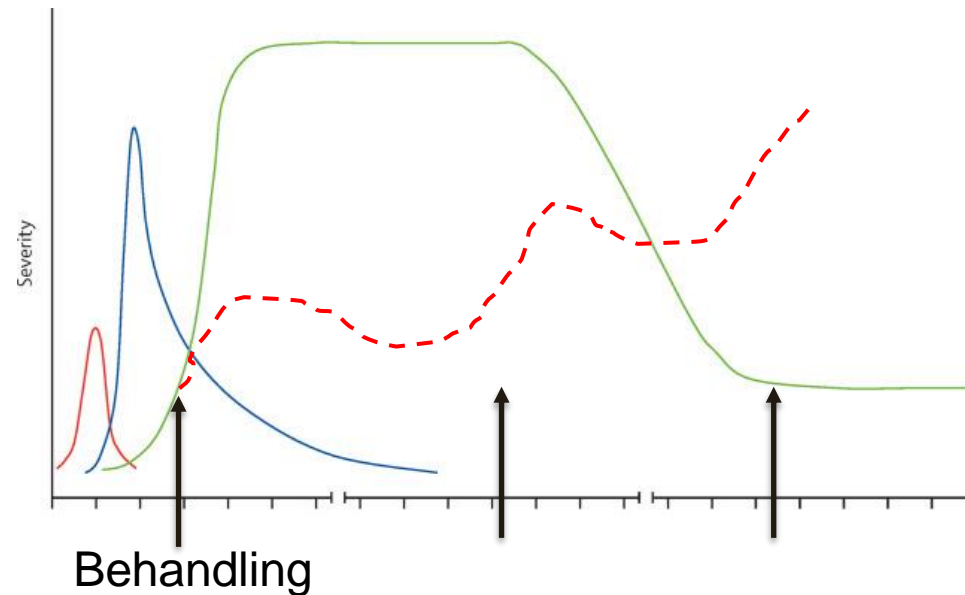
Gentage IVIG/Plasmaferese ved behandlings relaterede fluktuationer

- Good clinical practice point

Behandling - immunmodulerende

Gentage IVIG/Plasmaferese ved behandlings relaterede fluktuationer

- Good clinical practice point



Behandling - Understøttende

- Observation
- Smerter
- Forebyggeblodpropper
- Respirator
- Sondeernæring
- Kommunikation
- Angst
- Genoptræning
- Forebyg liggesår og kontrakturer
- Etc.

International GBS Outcome Study



Update for PNS website, January 9th, 2025

IGOS Research program



Epidemiological Clinical/diagnosis	Electrophysiology	Laboratory	Treatment	Outcome measures Prognostic models	Research methodology
IGOS Protocol <i>Published in JPNS</i>	NCS protocol <i>Published in Clin Neurophysiol</i>	Big 5 infections <i>Published in Neurology</i>	Treatment practice <i>Published in Neurology</i>	mEGOS validation <i>Published in Neurology</i>	Ordinal analysis
Regional variation <i>Published in Brain</i>	EDx survey study <i>Published in JPNS</i>	SARS-CoV-2 studies <i>Published in Brain</i>	I-SID in severe GBS <i>Published in JNNP</i>	EGRIS validation <i>Published in Ann Neurol</i>	Machine learning
IGOS-DK epidemiol <i>Published in J Neurol</i>	Subtype classification <i>Published in Eur J Neurol</i>	Zika virus studies <i>Published in JPNS</i>	IVIg in mild GBS <i>Published in JNNP</i>	BD mEGOS validation <i>Published in ACTN</i>	
Cerebrospinal fluid <i>Published in Neurology</i>	Serial EDx studies	Anti-ganglioside abs	CER proof-of-concept	EGRIS improvement <i>Published in JNNP</i>	
Cranial nerves	GBS subtypes	Infections IGOS-2000	CER Imflidase	I-RODS validation	
TRF/A-CIDP	Diagnostic value	Genomic studies	CER ANX005	(R)-FSS validation	
GBS in children	Prognostic value	Anti-paranodal abs		Rasch MRC scores	
IGOS-2000 cohort		Abs in co-cultures		Long-term outcome	
Pain		IVIg PK/PD, albumin		Decision-curve analysis	
		NfL			
		Peripherin			
		Proteomics			

- Published (n=17)
- Paper preparation (n=6)
- Data analysis (n=6)
- Study preparation (n=16)

IGOS Research program



Epidemiological Clinical/diagnosis	Electrophysiology	Laboratory	Treatment	Outcome measures Prognostic models	Research methodology
IGOS Protocol <i>Published in JPNS</i>	NCS protocol <i>Published in Clin Neurophysiol</i>	Big 5 infections <i>Published in Neurology</i>	Treatment practice <i>Published in Neurology</i>	mEGOS validation <i>Published in Neurology</i>	Ordinal analysis
Regional variation <i>Published in Brain</i>	EDx survey study <i>Published in JPNS</i>	SARS-CoV-2 studies <i>Published in Brain</i>	I-SID in severe GBS <i>Published in JNNP</i>	EGRIS validation <i>Published in Ann Neurol</i>	Machine learning
IGOS-DK epidemiol <i>Published in J Neurol</i>	Subtype classification <i>Published in Eur J Neurol</i>	Zika virus studies <i>Published in JPNS</i>	IVIg in mild GBS <i>Published in JNNP</i>	BD mEGOS validation <i>Published in ACTN</i>	
Cerebrospinal fluid <i>Published in Neurology</i>	Serial EDx studies	Anti-ganglioside abs	CER proof-of-concept	EGRIS improvement <i>Published in JNNP</i>	
Cranial nerves	GBS subtypes	Infections IGOS-2000	CER Imflidase	I-RODS validation	
TRF/A-CIDP	Diagnostic value	Genomic studies	CER ANX005	(R)-FSS validation	
GBS in children	Prognostic value	Anti-paranodal abs		Rasch MRC scores	
IGOS-2000 cohort		Abs in co-cultures		Long-term outcome	
Pain		IVIg PK/PD, albumin		Decision-curve analysis	
		NfL			
		Peripherin			
		Proteomics			

- Published (n=17)
- Paper preparation (n=6)
- Data analysis (n=6)
- Study preparation (n=16)

IGOS Research program



Epidemiological Clinical/diagnosis	Electrophysiology	Laboratory	Treatment	Outcome measures Prognostic models	Research methodology
IGOS Protocol <i>Published in JPNS</i>	NCS protocol <i>Published in Clin Neurophysiol</i>	Big 5 infections <i>Published in Neurology</i>	Treatment practice <i>Published in Neurology</i>	mEGOS validation <i>Published in Neurology</i>	Ordinal analysis
Regional variation <i>Published in Brain</i>	EDx survey study <i>Published in JPNS</i>	SARS-CoV-2 studies <i>Published in Brain</i>	I-SID in severe GBS <i>Published in JNNP</i>	EGRIS validation <i>Published in Ann Neurol</i>	Machine learning
IGOS-DK epidemiol <i>Published in J Neurol</i>	Subtype classification <i>Published in Eur J Neurol</i>	Zika virus studies <i>Published in JPNS</i>	IVIg in mild GBS <i>Published in JNNP</i>	BD mEGOS validation <i>Published in ACTN</i>	
Cerebrospinal fluid <i>Published in Neurology</i>	Serial EDx studies	Anti-ganglioside abs	CER proof-of-concept	EGRIS improvement <i>Published in JNNP</i>	
Cranial nerves	GBS subtypes	Infections IGOS-2000	CER Imflidase	I-RODS validation	
TRF/A-CIDP	Diagnostic value	Genomic studies	CER ANX005	(R)-FSS validation	
GBS in children	Prognostic value	Anti-paranodal abs		Rasch MRC scores	
IGOS-2000 cohort		Abs in co-cultures		Long-term outcome	
Pain		IVIg PK/PD, albumin		Decision-curve analysis	
		NfL			
		Peripherin			
		Proteomics			

Published (n=17)
 Paper preparation (n=6)
 Data analysis (n=6)
 Study preparation (n=16)

IGOS Research program



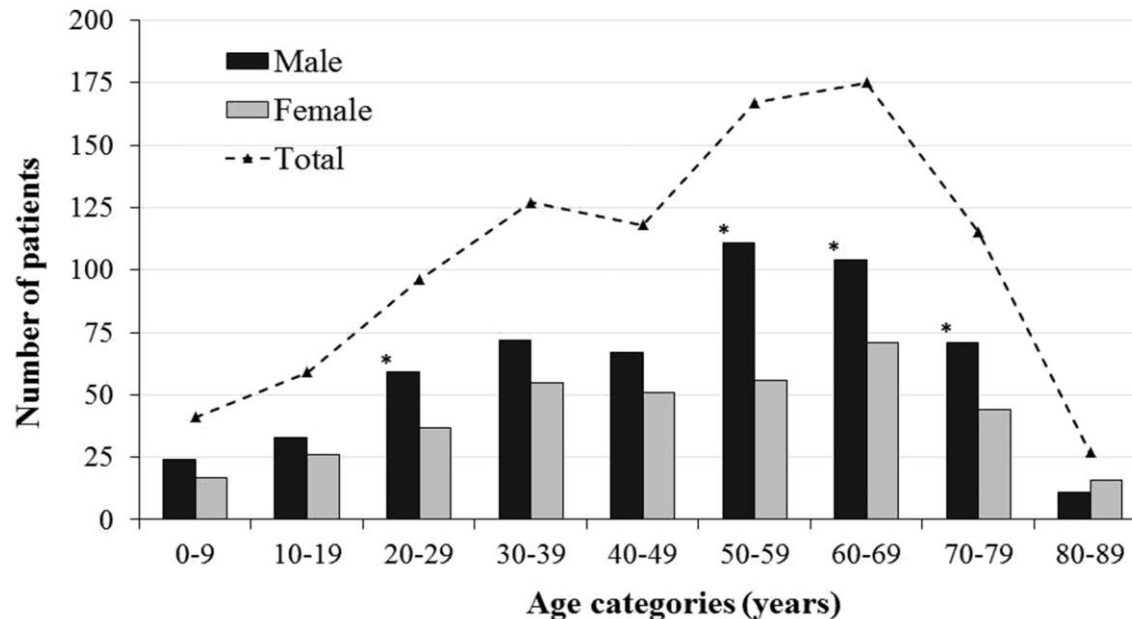
Epidemiological Clinical/diagnosis	Electrophysiology	Laboratory	Treatment	Outcome measures Prognostic models	Research methodology
IGOS Protocol <i>Published in JPNS</i>	NCS protocol <i>Published in Clin Neurophysiol</i>	Big 5 infections <i>Published in Neurology</i>	Treatment practice <i>Published in Neurology</i>	mEGOS validation <i>Published in Neurology</i>	Ordinal analysis
Regional variation <i>Published in Brain</i>	EDx survey study <i>Published in JPNS</i>	SARS-CoV-2 studies <i>Published in Brain</i>	I-SID in severe GBS <i>Published in JNNP</i>	EGRIS validation <i>Published in Ann Neurol</i>	Machine learning
IGOS-DK epidemiol <i>Published in J Neurol</i>	Subtype classification <i>Published in Eur J Neurol</i>	Zika virus studies <i>Published in JPNS</i>	IVIg in mild GBS <i>Published in JNNP</i>	BD mEGOS validation <i>Published in ACTN</i>	
Cerebrospinal fluid <i>Published in Neurology</i>	Serial EDx studies	Anti-ganglioside abs	CER proof-of-concept	EGRIS improvement <i>Published in JNNP</i>	
Cranial nerves	GBS subtypes	Infections IGOS-2000	CER Imflidase	I-RODS validation	
TRF/A-CIDP	Diagnostic value	Genomic studies	CER ANX005	(R)-FSS validation	
GBS in children	Prognostic value	Anti-paranodal abs		Rasch MRC scores	
IGOS-2000 cohort		Abs in co-cultures		Long-term outcome	
Pain		IVIg PK/PD, albumin		Decision-curve analysis	
		NfL			
		Peripherin			
		Proteomics			

- Published (n=17)
- Paper preparation (n=6)
- Data analysis (n=6)
- Study preparation (n=16)

Regional variation of Guillain-Barré syndrome

Alex Y. Doets,^{1*} Christine Verboon,^{1*} Bianca van den Berg,^{1*} Thomas Harbo,² David R. Cornblath,³ Hugh J. Willison,⁴ Zahirul Islam,⁵ Shahram Attarian,⁶ Fabio A. Barroso,⁷ Kathleen Bateman,⁸ Luana Benedetti,⁹ Peter van den Bergh,¹⁰ Carlos Casasnovas,¹¹ Guido Cavaletti,¹² Govindsinh Chavada,⁴ Kristl G. Claeys,^{13,14} Efthimios Dardiotis,¹⁵ Amy Davidson,⁴ Pieter A. van Doorn,¹ Tom E. Feasby,¹⁶ Giuliana Galassi,¹⁷ Kenneth C. Gorson,¹⁸ Hans-Peter Hartung,¹⁹ Sung-Tsang Hsieh,²⁰ Richard A.C. Hughes,²¹ Isabel Illa,²² Badrul Islam,⁵ Susumu Kusunoki,²³ Satoshi Kuwabara,²⁴ Helmar C. Lehmann,²⁵ James A.L. Miller,²⁶ Quazi Deen Mohammad,²⁷ Soledad Monges,²⁸ Eduardo Nobile Orazio,²⁹ Julio Pardo,³⁰ Yann Pereon,³¹ Simon Rinaldi,³² Luis Querol,²² Stephen W. Reddel,³³ Ricardo C. Reisin,³⁴ Nortina Shahrizaila,³⁵ Soren H. Sindrup,³⁶ Waheed Waqar,³⁷ Bart C. Jacobs^{1,38} and the IGOS Consortium[#]

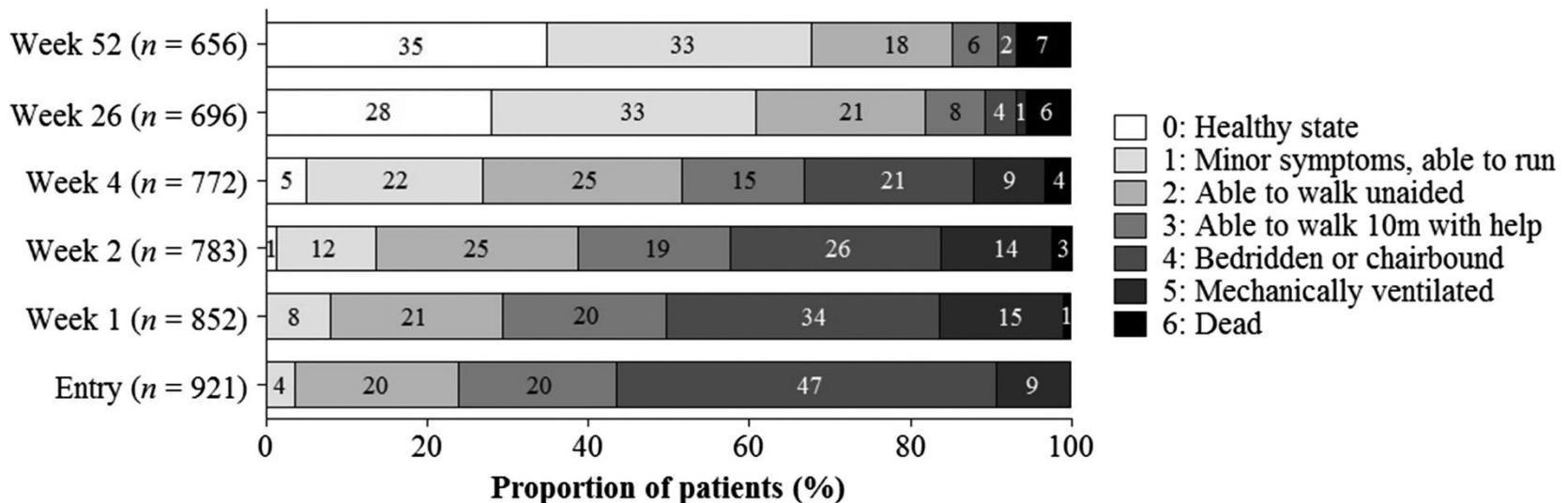
Patienter fordelt på alder og køn



Regional variation of Guillain-Barré syndrome

Alex Y. Doets,^{1,*} Christine Verboon,^{1,*} Bianca van den Berg,^{1,*} Thomas Harbo,² David R. Cornblath,³ Hugh J. Willison,⁴ Zahirul Islam,⁵ Shahram Attarian,⁶ Fabio A. Barroso,⁷ Kathleen Bateman,⁸ Luana Benedetti,⁹ Peter van den Bergh,¹⁰ Carlos Casasnovas,¹¹ Guido Cavaletti,¹² Govindsinh Chavada,⁴ Kristl G. Claeys,^{13,14} Efthimios Dardiotis,¹⁵ Amy Davidson,⁴ Pieter A. van Doorn,¹ Tom E. Feasby,¹⁶ Giuliana Galassi,¹⁷ Kenneth C. Gorson,¹⁸ Hans-Peter Hartung,¹⁹ Sung-Tsang Hsieh,²⁰ Richard A.C. Hughes,²¹ Isabel Illa,²² Badrul Islam,⁵ Susumu Kusunoki,²³ Satoshi Kuwabara,²⁴ Helmar C. Lehmann,²⁵ James A.L. Miller,²⁶ Quazi Deen Mohammad,²⁷ Soledad Monges,²⁸ Eduardo Nobile Orazio,²⁹ Julio Pardo,³⁰ Yann Pereon,³¹ Simon Rinaldi,³² Luis Querol,²² Stephen W. Reddel,³³ Ricardo C. Reisin,³⁴ Nortina Shahrizaila,³⁵ Soren H. Sindrup,³⁶ Waheed Waqar,³⁷ Bart C. Jacobs^{1,38} and the IGOS Consortium[#]

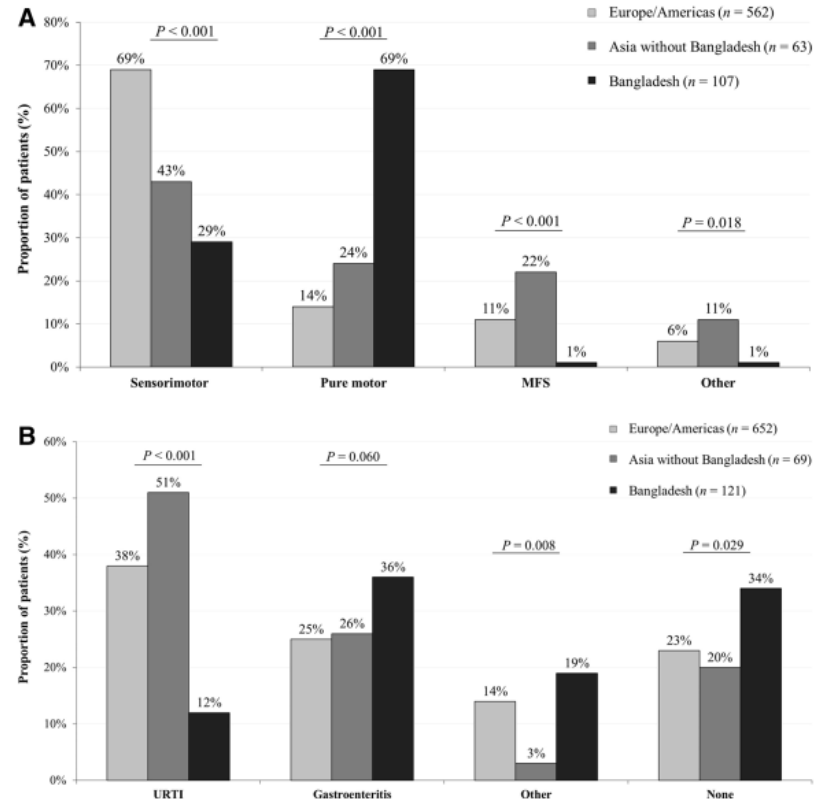
Patient forløb de første 52 uger



Regional variation of Guillain-Barré syndrome

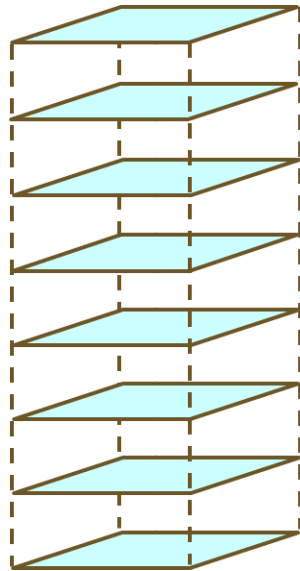
Alex Y. Doets,^{1*} Christine Verboon,^{1,*} Bianca van den Berg,^{1*} Thomas Harbo,² David R. Cornblath,³ Hugh J. Willison,⁴ Zahirul Islam,⁵ Shahram Attarian,⁶ Fabio A. Barroso,⁷ Kathleen Bateman,⁸ Luana Benedetti,⁹ Peter van den Bergh,¹⁰ Carlos Casasnovas,¹¹ Guido Cavaletti,¹² Govindsinh Chavada,⁴ Kristl G. Claeys,^{13,14} Efthimios Dardiotis,¹⁵ Amy Davidson,⁴ Pieter A. van Doorn,¹ Tom E. Feasby,¹⁶ Giuliana Galassi,¹⁷ Kenneth C. Gorson,¹⁸ Hans-Peter Hartung,¹⁹ Sung-Tsang Hsieh,²⁰ Richard A.C. Hughes,²¹ Isabel Illa,²² Badrul Islam,⁵ Susumu Kusunoki,²³ Satoshi Kuwabara,² Helmar C. Lehmann,²⁵ James A.L. Miller,²⁶ Quazi Deen Mohammad,²⁷ Soledad Monges,²⁸ Eduardo Nobile Orazio,²⁹ Julio Pardo,³⁰ Yann Pereon,³¹ Simon Rinaldi,³² Luis Querol,²² Stephen W. Reddel,³³ Ricardo C. Reisin,³⁴ Nortina Shahrizaila,³⁵ Soren H. Sindrup,³⁶ Waheed Waqar,³⁷ Bart C. Jacobs^{1,38} and the IGOS Consortium[#]

Kliniske varianter og forudgående infektioner fordelt på verdensdele

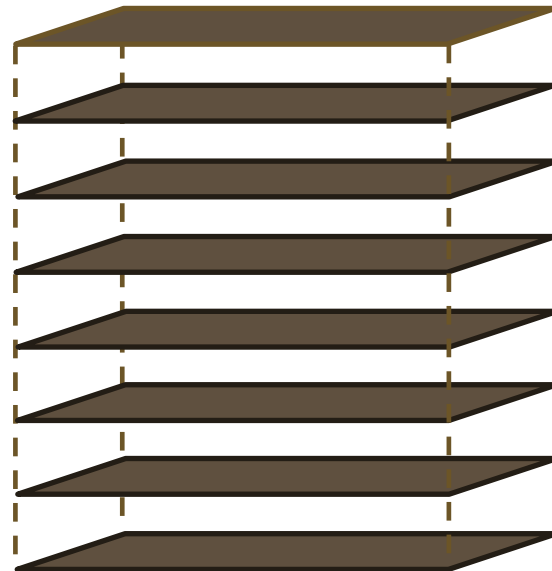


IGOS database som GBS model til fremtidige behandlingsstudier

Trials, controls

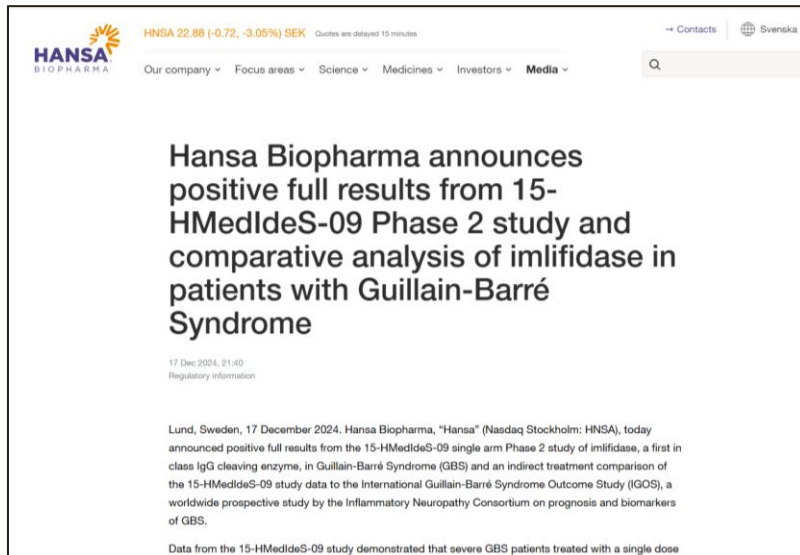


IGOS-2000 cohort



- Clinical presentation, variants, diagnosis
- Electrophysiology
- Preceding events
- Genetic polymorphisms
- Antibodies (glycolipids, paranodal, other)
- NfL, biomarkers, proteomics, multiomics
- Treatment
- Clinical course and outcome

IGOS database som GBS model til fremtidige behandlingsstudier



HANSA
BIO PHARMA

HNSA 22.88 (-0.72, -3.05%) SEK Quotes are delayed 15 minutes

→ Contacts Svenska

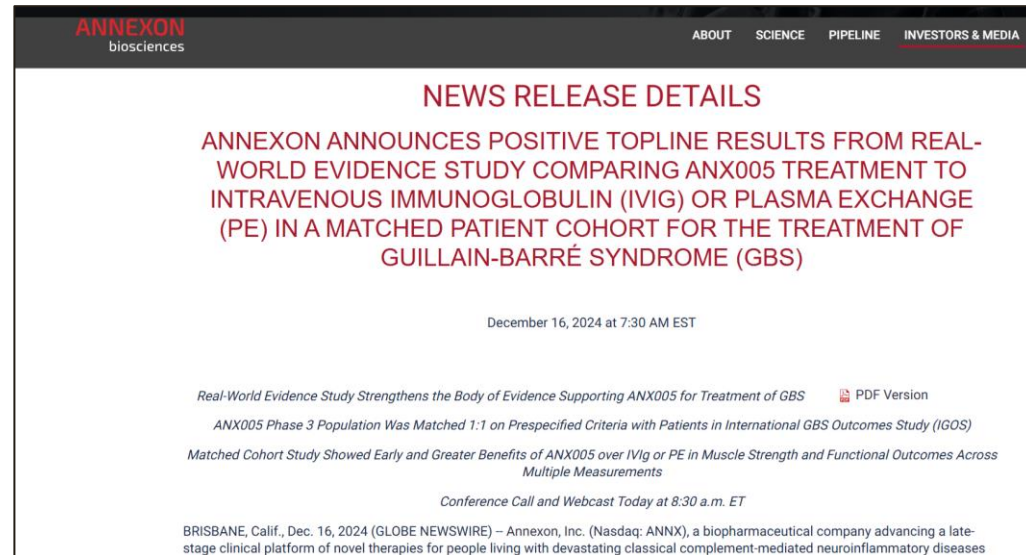
Our company ▾ Focus areas ▾ Science ▾ Medicines ▾ Investors ▾ Media ▾

Hansa Biopharma announces positive full results from 15-HMedIdeS-09 Phase 2 study and comparative analysis of imlifidase in patients with Guillain-Barré Syndrome

17 Dec 2024, 21:40
Regulatory information

Lund, Sweden, 17 December 2024. Hansa Biopharma, "Hansa" (Nasdaq Stockholm: HNSA), today announced positive full results from the 15-HMedIdeS-09 single arm Phase 2 study of imlifidase, a first in class IgG cleaving enzyme, in Guillain-Barré Syndrome (GBS) and an indirect treatment comparison of the 15-HMedIdeS-09 study data to the International Guillain-Barré Syndrome Outcome Study (IGOS), a worldwide prospective study by the Inflammatory Neuropathy Consortium on prognosis and biomarkers of GBS.

Data from the 15-HMedIdeS-09 study demonstrated that severe GBS patients treated with a single dose



ANNEXON
biosciences

ABOUT SCIENCE PIPELINE INVESTORS & MEDIA

NEWS RELEASE DETAILS

ANNEXON ANNOUNCES POSITIVE TOPLINE RESULTS FROM REAL-WORLD EVIDENCE STUDY COMPARING ANX005 TREATMENT TO INTRAVENOUS IMMUNOGLOBULIN (IVIG) OR PLASMA EXCHANGE (PE) IN A MATCHED PATIENT COHORT FOR THE TREATMENT OF GUILLAIN-BARRÉ SYNDROME (GBS)

December 16, 2024 at 7:30 AM EST

Real-World Evidence Study Strengthens the Body of Evidence Supporting ANX005 for Treatment of GBS PDF Version

ANX005 Phase 3 Population Was Matched 1:1 on Prespecified Criteria with Patients in International GBS Outcomes Study (IGOS)

Matched Cohort Study Showed Early and Greater Benefits of ANX005 over IVIG or PE in Muscle Strength and Functional Outcomes Across Multiple Measurements

Conference Call and Webcast Today at 8:30 a.m. ET

BRISBANE, Calif., Dec. 16, 2024 (GLOBE NEWSWIRE) – Annexon, Inc. (Nasdaq: ANNX), a biopharmaceutical company advancing a late-stage clinical platform of novel therapies for people living with devastating classical complement-mediated neuroinflammatory diseases

www.igosresearch.com

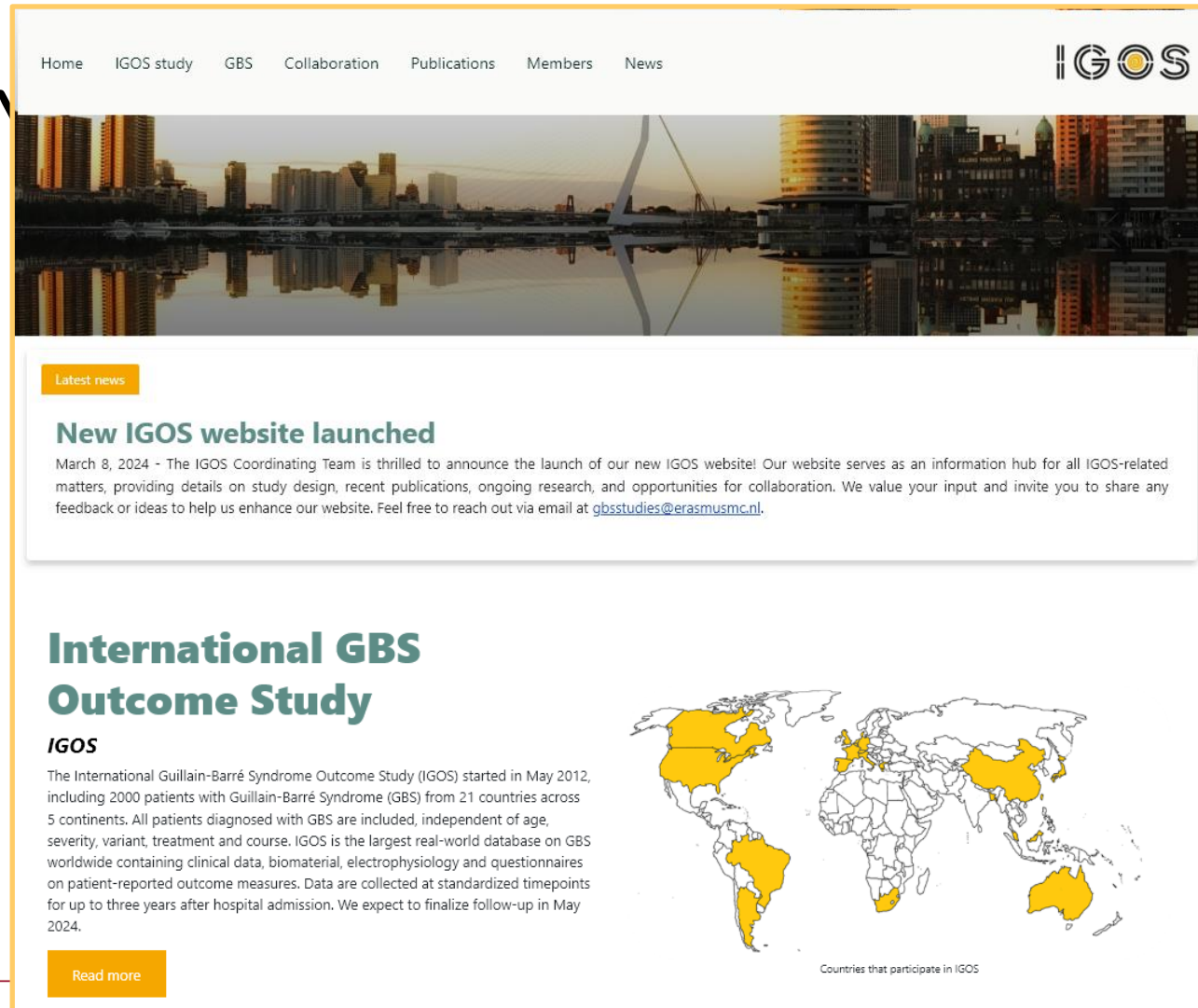
- **To domæner:**

- Offentlig tilgængelig
- For members only

- **Formål:**

- At informere om studie resultaterne løbende
- Adgang til at ansøge om eller foreslå nye projekter
- Power point slides

- **Ikke til at indsamle eller dele data**



The screenshot shows the IGOS website homepage. At the top, there is a navigation menu with links for Home, IGOS study, GBS, Collaboration, Publications, Members, and News. The IGOS logo is in the top right corner. Below the navigation is a large banner image of a city skyline at sunset. A 'Latest news' section features a headline 'New IGOS website launched' dated March 8, 2024, with a brief description of the website's purpose and contact information. Below this is a section for the 'International GBS Outcome Study', which includes a world map highlighting 21 participating countries in yellow. A 'Read more' button is located at the bottom of the study section.

Acknowledgements to IGOS Consortium and sponsors

Steering committee, country coordinators

USA	K. Gorson, D. Cornblath, K. Sheikh
UK	G. Chavada, A. Davidson, R. Hughes, H. Willison
Bangladesh	Z. Islam, N. Papri, Q. Deen Mohammad
Italy	E. Nobile-Orazio
Denmark	T. Harbo
Spain	I. Illa†, L. Querol
Germany	H.P. Hartung, H. Lehmann
Argentina	R. Reisn
Japan	S. Kusunoki
Malaysia	N. Shahrizaila
Canada	T. Feasby
France	Y. Pereon
Belgium	P. van den Bergh
Taiwan	S. Hshieh
South-Africa	K. Bateman
China	Y. Wang
Australia	S. Reddel
Greece	D. Efthimios
Brazil	A. Barreira†, W. Marques Jr
Switzerland	P. Ripellino

Coordinating team at Erasmus MC

S. Arends, B. v.d. Berg, A. Doets, P. v Doorn, J. Drenthen, H. Huizinga, L. de Koning, S. Leonhard, L. Luijten, F. Pelouto, L. Plomp, W. van Rijs, J. Roodbol, L.Sammelius, R. Thomma, S. van Tilburg, A. Tio-Gillen, C. Verboon, E. Wiegers, M. van Woerkom



Sponsors





Opdatering på, hvad der sker indenfor GBS/CIDP/MMN

Hvorfor har vi behov for ny behandling

Guillain Barré Syndrom

- Pta. IVIG og Plasmafere
 - Langvarig svære, invaliderende og indlæggelseskrævende symptomer
 - Betydelige varige mén ved 20 %

CIDP

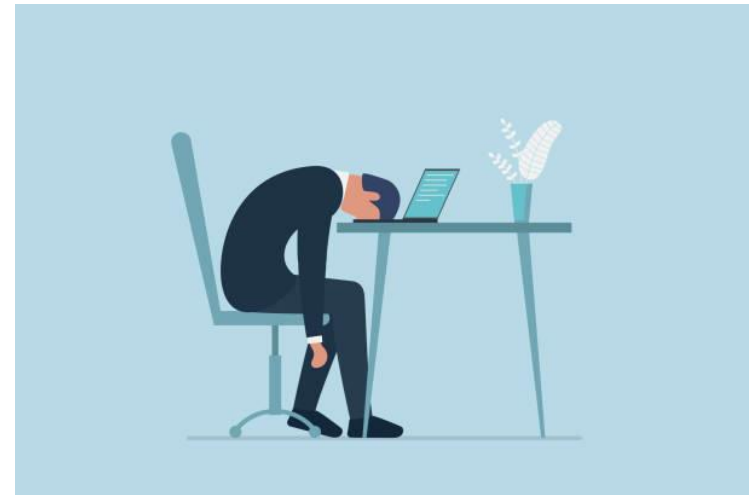
- Kan behandles med immunglobulin, plasmaferese og binyrebarkhormon
 - Forbundet med bivirkninger
 - Effekt ved 85%
 - Delvis effekt, vedvarende symptomer pta. behandling og behandlingen kan være livslang

MMN

- Immunoglobulin er eneste behandlingsmulighed

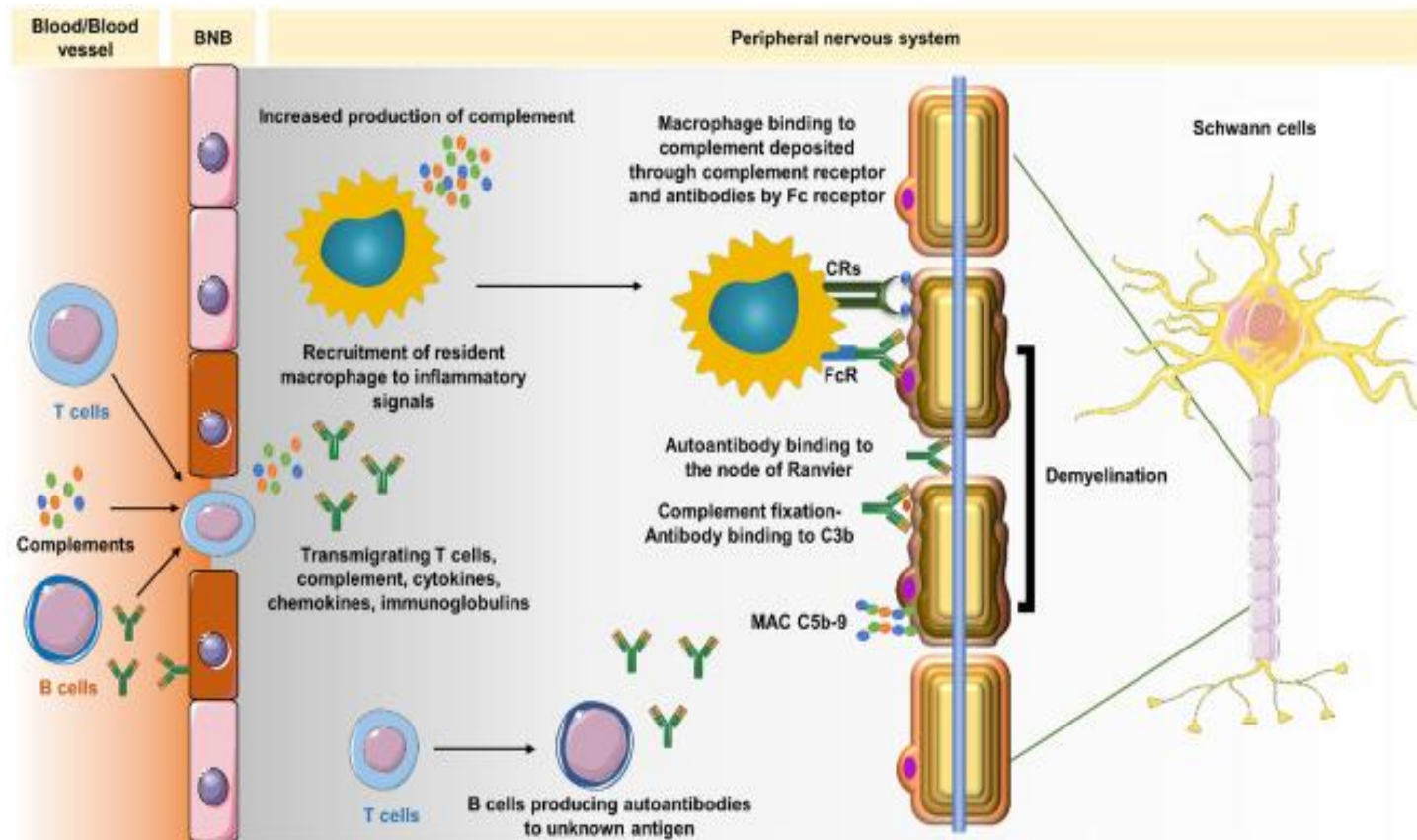
Hvorfor er det svært at introducere ny behandling

- Sjældne og ultra sjældne sygdomme
- Der er ingen dyremodel til rådighed
- Der er ingen gode biomarkører til at vurdere effekt
- Patienter og læger er bekymret for at stoppe immunoglobulin behandling ifm. studiedeltagelse.
- Sygdomsmekanismer er uklare



Sygdomsmekanismer

- Autoimmune sygdom der rammer de perifere nerver, men ukendt immunmekanisme og ingen identificerede biomarkører
- Forskellige sygdomme og varianter, korresponderer med forskellige mekanismer



Fremtidig behandling - GBS

ANX-005, anti-C1q

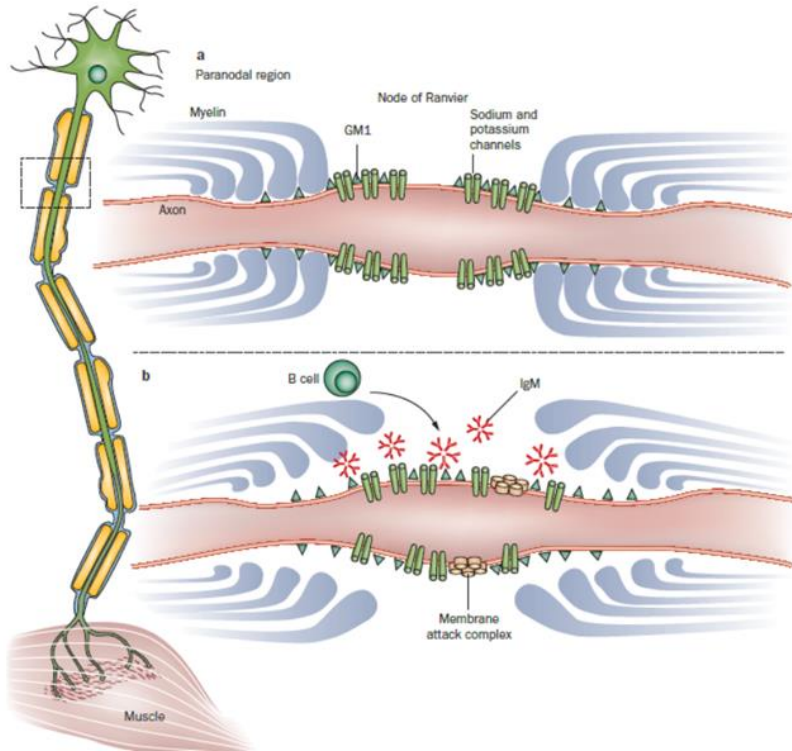
- Fase 3 studie med signifikant effekt overfor placebo, specielt meget hurtigt indsættende bedring af symptomer
- Matched Cohort Study med bedre effekt end IVIG/Plasmaferese
- Forventer at indsende ansøgning til EMA godkendelse 1. halvår 2026.
- Åbner studie i Århus ultimo 2025.

Imlifidase, IgG cleaving enzyme

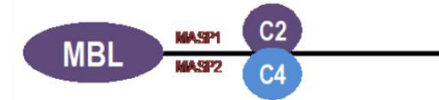
- Fase 2 studie. Matched Cohort Study. Imlifidase+IVIG sammenlignet med Placebo+IVIG.
- Signifikant effekt, specielt meget hurtigt indsættende bedring af symptomer

Fremtidig behandling – GBS

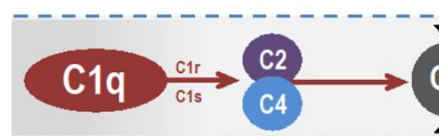
Anti-complement



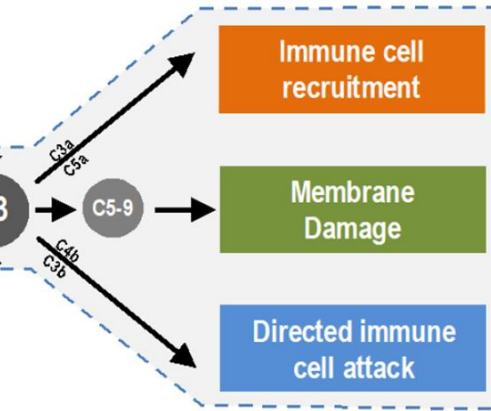
Lectin Pathway



Classical Pathway

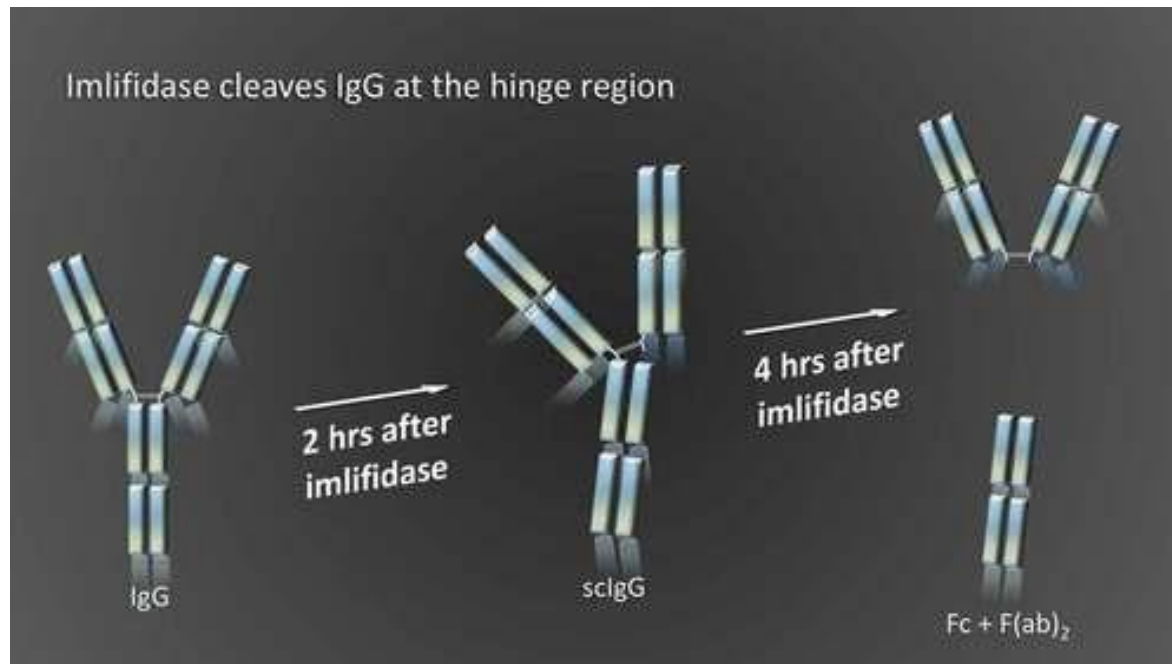


Alternative Pathway



Fremtidig behandling – GBS

Immunglobulin kløvende enzym



CIDP

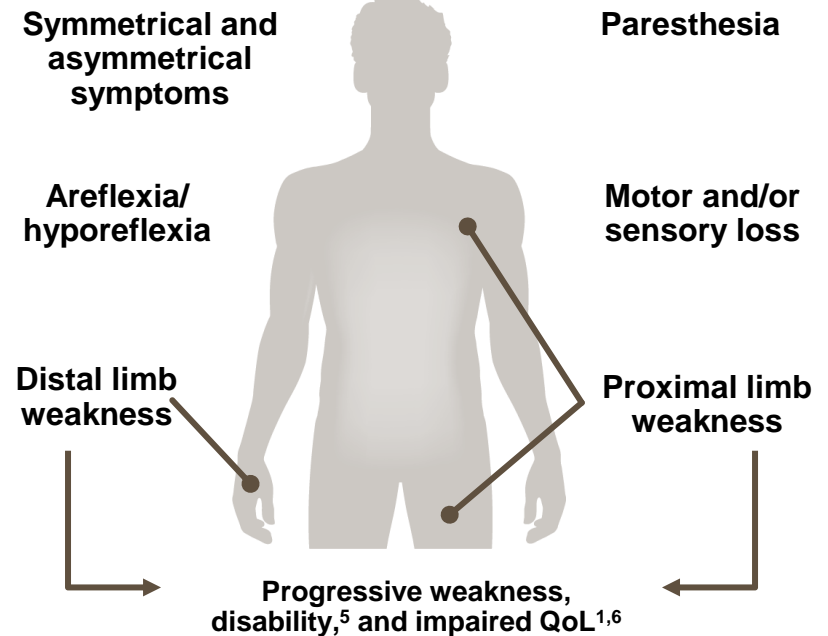


CIDP en sjælden, immunmedieret Polyneuropati

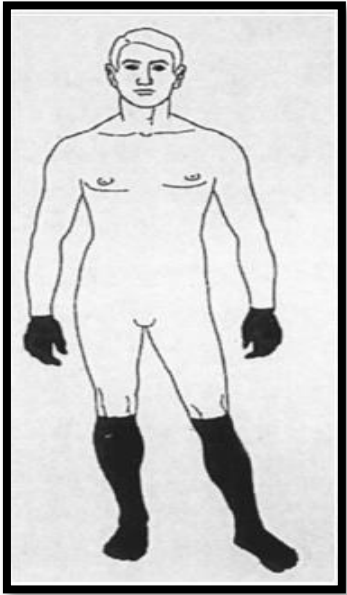
Disease characteristics

- CIDP er en inflammatorisk demyeliniserende neuropathy som resulterer i distal/proximal lammelse og sensoriske tab og føleforstyrrelser
- **Store myeliniserede fibre rammes**
- Symptomer på CIDP forværres over minimum 8 uger
- Hyppigheden er dobbelt så stor ved mænd
- Sjælden sygdom **2.81 cases per 100,000 persons**

Hallmark signs and symptoms

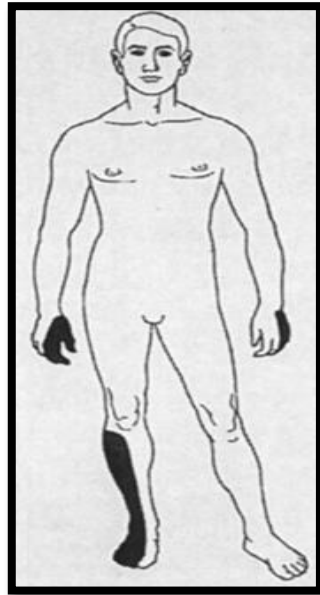


CIDP Varianter



Distal

Distal acquired demyelinating
symmetric or DADS



Multifocal

Lewis-Sumner or
MADSAM



Pure motor



Pure sensory

Chronic immune sensory
polyradiculopathy

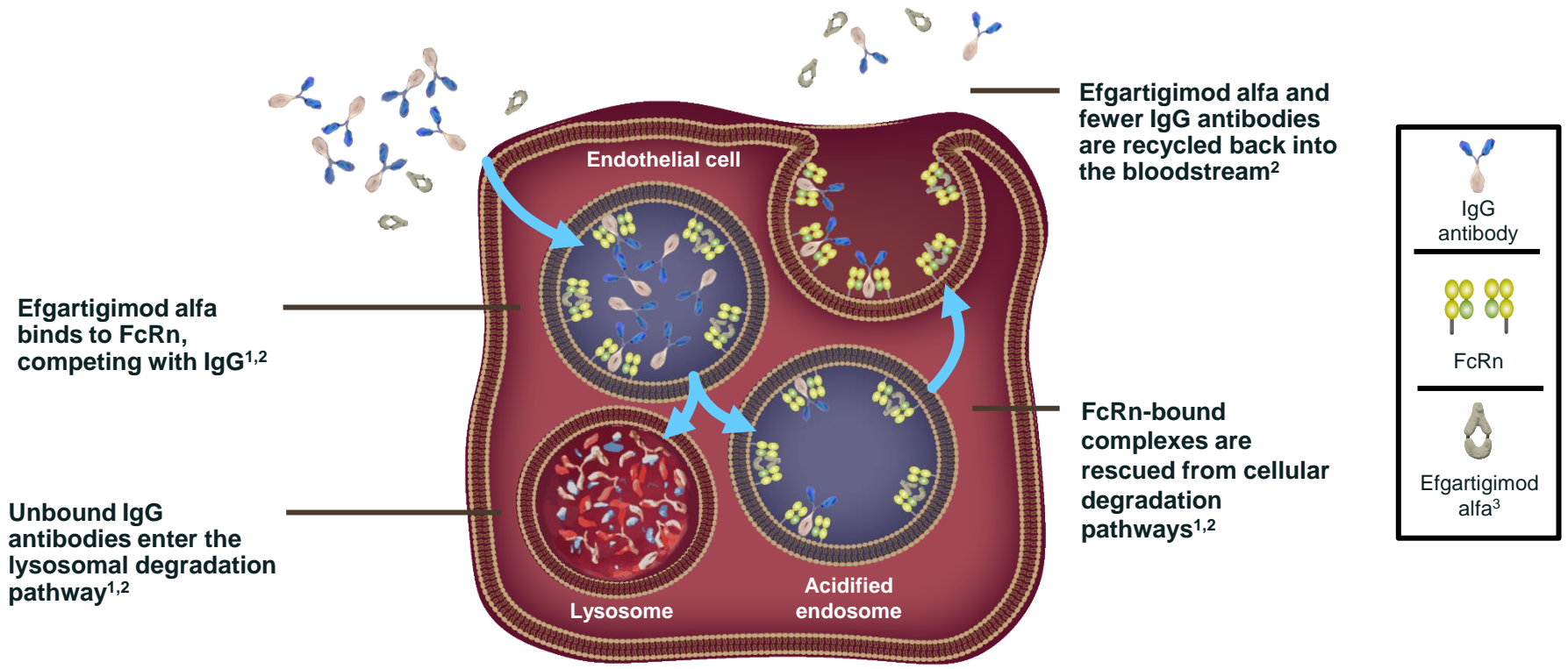
Behandling

- IVIg er stærkt anbefalet til **initiering og vedligeholdelsesbehandling** af CIDP.
- SCIg er stærkt anbefalet til **vedligeholdelsesbehandling** af CIDP uden præference for enten IVIg eller SCIg.
- Plasmaferese er stærkt anbefalet til behandling af CIDP. Forudsætter god vaskulær adgang og specialudstyr.
- Binyrebarkhormon er stærkt anbefalet til behandling af CIDP, men langtidsbehandling er associeret med betydelige bivirkninger og komplikationer. I praksis undgå mere end 6 mdr.
- Other treatment (Good Practice Points)
 - Azathioprine, mycophenolate mofetil, eller ciclosporin kan overvejes som immunoglobulin eller corticosteroid-sparende behandling af CIDP
 - Cyclophosphamide, ciclosporin, eller rituximab kan overvejes som behandling af patienter som er refraktære til bevist effektiv behandling (IVIg, binyrebarkhormon og plasmaferese)

Behandling, fremtiden

- FcRn blokerende behandling, et præparat er godkendt i USA og Europa (Endnu ikke taget i brug i Danmark)
 - Aktivt studie i København
- Anti-complement:
 - Flere studier i gang på AUH og RH
- Immunglobulin subcutan i højere concentration
 - Studie AUH og RH
- Anti B-celle behandling
 - Rituximab (anti-CD20)
 - Anti-CD19 under udvikling

Behandling, Efgartigimod, FcRn blokade



Behandling, fremtiden

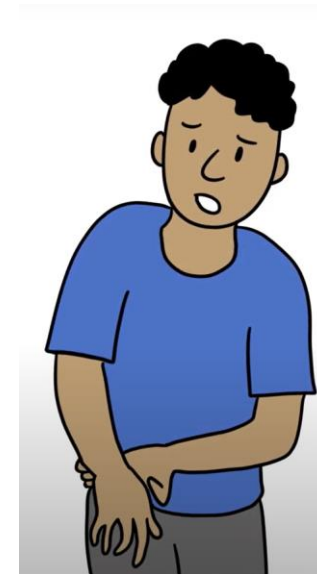
- Anti-complement: 2 studier i gang både AUH og RH
- Patienter med CIDP som har væsentlige symptomer og handicap pta. behandling med immunoglobulin eller binyrebarkhormon.
- Lodtrækningsstudie i fase 3 hvor
 - Aktiv studiebehandling sammenlignes med IVIG, hvis i behandling
 - Aktiv studiebehandling sammenlignes med placebo, hvis ikke respons på tidligere behandling
 - Efterfølgende åbent studie, hvor man får studiebehandling

MMN



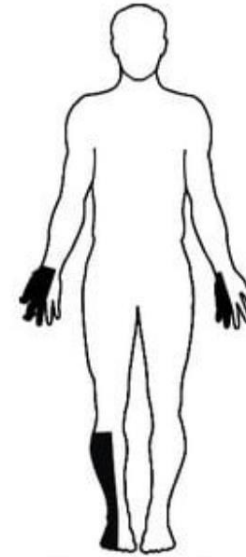
Multifocal Motor Neuropathy

- Autoimmune sygdom
 - Effekt af IVIG
 - anti-GM1 ganglioside antibodies
 - Motorisk nerveledningsblok udenfor tryksteder
 - Fortykkede nerver i plexus brachialis ved MR/UL
- Ultra sjælden, prævalens 1:100,000 personer
- Ca. 3 gange hyppigere ved mænd end kvinder
- Hyppigt symptom debut 35-45 år (range 20-70)



Multifocal Motor Neuropathy

- Kronisk, langsomt progredierende i et stepvist multifokalt mønster.
- Multifokal asymmetrisk, følger distribution af enkelte nerver klinisk og elektrofysiologisk.
- Distal predominant, næsten altid afficerende hænder, men ikke eksklusivt.
- muskel atrofi er prominent og der ses ofte kramper og fasciculationer og forværring ved kuldepåvirkning.
- ÷ Ingen sensoriske symptomer.



MMN, Behandlingsmuligheder

Immunoglobulin er den eneste medicinske behandling der er bevist effektiv ved MMN

- Intravenous administration (IVIG)
- Subcutaneous administration (SCIG)



MMN, Fremtidig

anti-complement

- To active studier, RH og AUH



Tak for opmærksomheden
Spørgsmål?