

Presentation av post-hoc analys vid International IgA Nephropathy Network-konferensen (IIgANN) bekräftar data från NEFIGAN-studien

Calliditas Therapeutics AB (publ) ("Calliditas") redovisade idag bekräftande post hoc-resultat från sin kliniska fas 2b-studie NEFIGAN med bolagets ledande läkemedelskandidat Nefecon, presenterade av professor Bengt Fellström vid International IgA Nephropathy Network-konferensen (IIgANN) i Buenos Aires, Argentina, den 28 september.

Den muntliga presentationen av abstractet – med titeln *Treatment of IgA nephropathy with Nefecon, a targeted-release formulation of budesonide – extended post-hoc results from the NEFIGAN trial* – underströk bland annat att Nefecon har potential att bli en effektiv IgA-specifik behandling, riktad mot intestinal mukosal immunitet, före stället där själva sjukdomen yttrar sig.

De nya post hoc-resultaten, som presenterades av professor Bengt Fellström, leg. läk, filosofie doktor, vid Institutionen för medicinska vetenskaper, Njurmedicin, Uppsala universitet, är från förlängda post hoc-analyser av den randomiserade, dubbelblind-kontrollerade fas 2b-studien NEFIGAN, som Calliditas utförde med 149 patienter med IgA-nefropati (IgAN) som riskerar att utveckla njursvikt (*end stage renal disease*, ESRD). År 2017 publicerades de primära resultaten från nio månaders behandling med antingen Nefecon eller placebo i tidskriften *The Lancet*.

De nya studieresultaten bekräftar effekten för Nefecon vad gäller minskning av proteinuri och stabilisering av njurfunktionen. NEFIGAN-studien stöder den rådande tesen av sjukdomens mekanism, genom att demonstrera att den lokala behandlingen av det mukosala immunsystemet i GI-kanalen med budesonid är effektiv för att minska njurläckage och förhindra förlust av njurfunktion.

Viktiga slutsatser från post hoc-studien, som presenterades av professor Fellström:

- Nefecon tillsatt till optimerad RAS-blockad ledde till en signifikant och konsekvent minskad UPCR¹, 24 timmar urinprotein, UACR² och 24 timmar u-albumin.
- UACR minskade med 43% i behandlingsgruppen med 16 mg vid 12 månader jämfört med baslinjen och UPCR reducerades med 35%.
- Effekterna var oberoende av UPCR-baslinjen, eGFR-baslinjen och tid från diagnos till randomisering.
- eGFR stabiliserades bland Nefecon-behandlade patienter, men minskade i placebo-patienter.

“Dessa ytterligare resultat styrker tidigare presenterade data och bekräftar att Nefecon genom lokal behandling av tarmen har potentialen att minska risken att utveckla njursvikt”, säger professor Bengt Fellström.

Baserat på denna framgångsrika fas 2b-studie kommer Calliditas att initiera en klinisk fas 3-studie under H2 2018.

Samtliga abstracts och sammandrag av sessionerna kommer att publiceras i ett specialnummer av den vetenskapliga tidskriften *Kidney Diseases*.

Informationen lämnades genom nedanstående kontaktpersons försorg för offentliggörande den 1 oktober 2018 kl.08:00.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Mikael Widell, Informationschef
Epost: mikael.widell@calliditas.com
Tel: 0703-11 99 60

1. Urinary protein creatinine ratio
2. Urinary albumin creatinine ratio

Om Calliditas

Calliditas Therapeutics är ett specialistläkemedelsbolag med säte i Stockholm som är inriktat på utveckling av högkvalitativa läkemedel i nischindikationer där det finns ett betydande medicinskt behov som inte tillgodosätts och där Bolaget helt eller delvis kan delta i kommersialiseringen. Bolaget fokuserar på att utveckla och kommersialisera produktkandidaten Nefecon, en unik formulering optimerad för att kombinera en fördröjningseffekt med en koncentrerad frisättning av den aktiva substansen budesonid, inom ett avsett målområde. Denna patenterade, lokalt verkande formulering är avsedd för behandling av patienter med den inflammatoriska njursjukdomen IgA-nefropati. Calliditas Therapeutics har för avsikt att ta Nefecon genom en global fas 3-studie till kommersialisering. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (ticker: CALTX). Besök www.calliditas.com för ytterligare information.

Om Nefecon

Nefecon är en potentiell behandling för patienter med IgAN som riskerar att utveckla njursvikt. Det är en patenterad oral formulering som frisätter den aktiva substansen budesonid till målområdet i den nedre delen av tunntarmen (ileum), där de så kallade Peyer's Patches finns. Det är inom detta område som merparten av de B-celler som producerar IgA-antikroppar finns. Genom att Nefecon har en riktad frisättning minskar risken för biverkningar avsevärt jämfört med systemisk behandling med höga doser av steroider, samtidigt som man optimerar den effektiva dosnivån av läkemedlet där det krävs. Budesonid har använts för att behandla patienter med astma, inflammatorisk tarmsjukdom och allergisk rinit i över 35 år. Det bryts ned snabbt efter att ha gått in i cirkulationssystemet, vilket gör den idealisk för läkemedel som Nefecon, eftersom lokal leverans till sjukdomsvävnad minimerar de systemiska effekterna som noteras med andra kortikosteroider.

Nefecon har fått sär läkemedelsstatus för IgAN av amerikanska Food and Drug Administration (FDA) och European Medicines Agency (EMA).

Om IgA-nefropati (IgAN)

IgA-nefropati (IgAN), som även är känd som Bergers sjukdom, är den vanligaste formen av den kroniska, inflammatoriska njursjukdomen glomerulonefrit i västvärlden. Det är en allvarlig, autoimmun, progressiv sjukdom som i upp till 50% av populationen leder till njursvikt inom 10 till 20 år. Uppåt 50 procent av patienterna som diagnostiserats med IgAN utvecklar sedermera njursvikt (*end stage renal disease*, ESRD), ett sjukdomstillstånd som kräver dialys eller njurtransplantation för överlevnad på grund av otillräcklig njurfunktion inom 20 år. IgAN klassificeras som en sällsynt sjukdom (*orphan disease*) i både USA och EU och drabbar cirka 130 000–150 000 personer i USA och cirka 250 000 personer i Europa. Idag finns det inga godkända behandlingar för IgAN. Dagens standardbehandling omfattar i första hand etablerade generiska läkemedel som till exempel blodtryckssänkare för att lindra symtom, kompletterat med s.k. *off label*-användning av systemiska kortikosteroider.

Om IgAN

International IgA Nephropathy Network (IgANN) grundades år 2000 med utgångspunkt från The International IgA Nephropathy Club som startade 1987. Syftet med IgANN var att öka medvetenheten om sjukdomen eftersom den kliniska effekten av IgAN underskattades av nefrologer och allmänläkare i många länder. Årets IgANN-möte, som hålls 27–29 september kommer också att markera 50-årsdagen av den första beskrivningen av IgAN av Dr. J Berger och Dr. N. Hinglais 1968. Cirka 200 deltagare förväntas vid detta globala möte med fokus endast på IgAN.