

Första patienten rekryterad till den registreringsgrundande kliniska fas 3-studien NEFIGARD med ledande läkemedelskandidaten Nefecon

Calliditas Therapeutics AB (publ) ("Calliditas") tillkännagav idag att den första patienten har rekryterats till bolagets registreringsgrundande kliniska fas 3-studie NEFIGARD för behandling av patienter med IgA-nefropati (IgAN).

NEFIGARD-studien kommer att studera effekten av Nefecon kontra placebo på proteinuri hos patienter med IgAN. Baserat på positiva resultat från de 200 först doserade patienterna planerar Calliditas att söka marknadsgodkännande hos myndigheterna. Topline-data förväntas under H2 2020. NEFIGARD-studien följer den framgångsrika fas 2b-studien NEFIGAN med 150 patienter vars resultat publicerades 2017 i den vetenskapliga tidskriften The Lancet och som hade i allt väsentligt en liknande design som den nu initierade fas 3-studien.

"Som vi förklarade i samband med börsnoteringen har vi en tydlig strategi för att maximera potentialen för Nefecon som en sjukdomsmodifierande behandling för patienter som lider av denna kroniska autoimmuna sjukdom. Jag är väldigt glad att tillkännage studiestarten, vilket är ett viktigt steg när vi nu påskyndar utvecklingen av Nefecon genom kliniska fas 3-prövningar", säger Renée Aguiar-Lucander, VD för Calliditas Therapeutics.

I den randomiserade studien kommer totalt 450 patienter vid cirka 150 kliniska platser i 19 länder att ingå. Under en niomånadersperiod får patienterna en gång om dagen en oral behandling med antingen Nefecon eller placebo. Ytterligare detaljer om NEFIGARD-studien finns på www.clinicaltrials.gov med referens NCT03643965.

"Vi är glada att rapportera randomiseringen av den första patienten i den här viktiga fas 3-studien. Vi har tidigare visat god effekt och säkerhet för Nefecon i den omfattande NEFIGAN-studien, som är den hittills enda framgångsrika, placebokontrollerade fas 2b-studien för denna indikation. Vi förväntar oss att se liknande studieresultat för att minska proteinuri och stabilisera njurfunktionen hos patienterna, i kombination med den godartade säkerhetsprofilen, som vi hittills har sett", säger Jens Kristensen, Chief Medical Officer på Calliditas Therapeutics.

Informationen i pressmeddelandet är sådan som Calliditas Therapeutics AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 13 november 2018 kl. 16:20.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

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

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.