

## Calliditas Therapeutics har beviljats sär­läkemedelsstatus av FDA för primär gallkolangit

**Calliditas Therapeutics AB (publ) ("Calliditas") tillkännagav idag att amerikanska Food and Drug Administration (FDA) har beviljat sär­läkemedelsstatus (*orphan drug designation*, ODD) till bolaget för behandling av primär gallkolangit (*Primary biliary cholangitis*, PBC) Mer information om ODD har publicerats på [www.fda.gov](http://www.fda.gov).**

PBC, tidigare känd som primär biliär cirros, är en autoimmun sjukdom i levern, där vanliga symptom är trötthet, klåda och i mer avancerade fall även gulsot. PBC är en sällsynt sjukdom, som påverkar cirka 4,3 av 10 000 personer i USA. Det är mycket vanligare hos kvinnor, med minst 9:1 kvinnor jämfört med män.

Företaget planerar att diskutera den regulatoriska vägen framåt med FDA samt att besluta om vilka kliniska prövningar är bäst lämpade för denna indikationen.

"Vi är mycket glada att få ODD i USA för behandling av PBC. Detta bekräftar det stora ej tillgodosedda medicinska behovet och uppmuntrar oss att fortsätta undersöka sär­läkemedelsindikationer där vi kan utnyttja vår existerande expertis. Det här är en allvarlig sjukdom med få medicinska alternativ idag, men med många intressanta forsknings och kliniska initiativ.", kommenterade Renée Aguiar-Lucander, VD för Calliditas Therapeutics.

Tidigare i februari 2019 beviljades företaget ODD av FDA för AIH. Företaget planerar att komma överens med FDA om den regulatoriska vägen framåt för denna indikation senare i år.

Bolaget driver för närvarande även en global registreringsgrundande klinisk fas 3-studie för behandling av den sällsynta sjukdomen IgA-nefropati (IgAN), vilken redan erhållit ODD av FDA och European Medicines Agency (EMA). Top-line data för IgAN förväntas i H2 2020.

*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 12 februari 2019 kl. 11:15.*

### **För ytterligare information, vänligen kontakta:**

Mikael Widell, Informationschef  
Epost: [mikael.widell@calliditas.com](mailto:mikael.widell@calliditas.com)  
Tel: 0703-11 99 60

### **Om Calliditas**

Calliditas Therapeutics är ett specialistläkemedelsbolag med säte i Stockholm. Bolaget utvecklar högkvalitativa läkemedel i nischindikationer där det finns ett betydande medicinskt behov som inte tillgodosetts och där Calliditas helt eller delvis kan driva och delta i kommersialiseringen. Calliditas 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 (IgAN). Calliditas driver en global fas-3 studie inom IgAN och har för avsikt att kommersialisera Nefecon i egen regi i USA. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (ticker: CALTX). Besök [www.calliditas.com](http://www.calliditas.com) för ytterligare information.

### **Om primär gallkolangit (Primary biliary cholangitis, PBC)**

PBC, tidigare känd som primär biliär cirros, är en autoimmun sjukdom i levern. Det härrör från en långsam, progressiv förstöring av leverns lilla gallkanaler, vilket orsakar galla och andra toxiner att byggas upp i levern, ett

tillstånd som kallas kolestas. Ytterligare långsam skada på levervävnaden kan leda till ärrbildning, fibros och slutligen cirros.

Vanliga symptom är trötthet, klåda och i mer avancerade fall gulsot. I tidiga fall kan det bara finnas förändringar i blodprov. PBC är en sällsynt sjukdom, som påverkar cirka 4,3 av 10 000 personer i USA. Det är mycket vanligare hos kvinnor, med en könsfördelning på minst 9:1 kvinnor jämfört med män.

#### **Om Sär läkemedelsstatus (*Orphan Drug Designation, ODD*)**

FDA:s Orphan Drug Act (ODA) ger särskild status till ett läkemedel eller en biologisk produkt för behandling av en ovanlig sjukdom som påverkar färre än 200 000 personer i USA. Sär läkemedelsstatus (Orphan drug designation, ODD) är förenat med utvecklingsincitament för sponsorn/bolaget såsom skattelättnader, protokollstöd och upp till sju års marknadsexklusivitet från tidpunkten för godkännande av ansökan om marknadsgodkännande för läkemedlet, en så kallad BLA (Biologics License Application).