

Stockholm

3 september 2019

Positiv feedback från FDA har betydande påverkan på den pågående fas 3 studien NeflgArd

Calliditas Therapeutics AB (publ) ("Calliditas") har fått skriftligt besked från amerikanska Food and Drug Administration (FDA) som kommer att ha en betydande positiv inverkan på genomförandet av den pågående registreringsgrundande kliniska fas 3-studien NeflgArd med Calliditas ledande läkemedelskandidat Nefecon för den kroniska autoimmuna njursjukdomen IgA-nefropati (IgAN).

Calliditas har haft en aktiv dialog med FDA kring NeflgArd-studien under året och har nu fått acceptans från myndigheten för att ändra utformningen av den bekräftande B-delen av studien, vilket väsentligt förenklar och stärker utformningen av denna del av studien.

De viktigaste konsekvenserna av FDA:s uppdaterade vägledning är:

- Acceptans av ett tvåårigt eGFR-baserat effektmått för del B av studien, vilket resulterar i en betydligt kortare total studietid, från sex år till cirka tre och ett halvt år.
- Utläsning för fullständigt godkännande fastställt till två år efter den sista randomiserade patienten.
- Det totala antalet patienter i del A och B minskar från 450 till 360 patienter, vilket har positiv påverkan på de totala kostnaderna och rekryteringstiden av patienter.
- Möjlighet att inleda en upprepade doseringsstudie för NeflgArd-patienter efter de avslutat den tvååriga beslutsgrundande studien. Detta skulle göra det möjligt för patienter i placeboarmen att få behandling med läkemedel, samt att generera ytterligare data relaterat till sjukdomsmodifierande effekt av Nefecon.

"Vi är väldigt nöjda med resultatet från våra samtal med FDA som kommer att ha en mycket positiv inverkan på genomförandet av vår registreringsgrundande studie", säger Renée Aguiar-Lucander, VD för Calliditas. "Detta är oerhört goda nyheter även för patienterna, eftersom det gör det möjligt för oss att slutföra den bekräftande delen av studien betydligt tidigare och därmed undvika påverkan av att patienter har tillgång till läkemedlet på marknaden. Det har också signifikanta fördelar avseende programmets totala kostnad och tidslinjer."

NeflgArd-studien studerar effekten av Nefecon kontra placebo på proteinuri hos patienter med IgAN vid cirka 140 kliniker i 19 länder. Första patienten doserades i november 2018, och resultatet från en top line-utläsning av 200 doserade patienter förväntas under andra halvåret 2020. Baserat på positiva data planerar Calliditas därefter att ansöka om marknadsgodkännande hos de regulatoriska myndigheterna. NeflgArd följer den framgångsrika fas 2b-studien NEFIGAN med 150 patienter, vars resultat publicerades i The Lancet 2017 och som hade en design som väsentligt liknar den pågående fas 3-studien.

Denna information är sådan som Calliditas Therapeutics AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 3 september 2019 kl. 07:00.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Renée Aguiar-Lucander, VD, Calliditas
Epost: renee.lucander@calliditas.com
Telefon: 0722-52 10 06

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

Om Calliditas Therapeutics

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 bolaget helt eller delvis kan driva och 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 (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 för ytterligare information.