

## CALLIDITAS THERAPEUTICS AB (publ)

Bokslutskommuniké 1 januari– 31 december 2019

# Patientrekryteringen för del A av den registreringsgrundande Fas 3-studien levererad enligt plan och budget

**Perioden i sammandrag**

1 oktober – 31 december 2019

1 januari – 31 december 2019

- Nettoomsättningen för oktober – december 2019 var 46,6 (-) MSEK.
- Periodens resultat efter skatt uppgick till -23,1 (-44,2) MSEK.
- Resultat per aktie före och efter utspädning uppgick till -0,60 (-1,26) SEK.
- Per den 31 december 2019 uppgick likvida medel till 753,5 (646,2) MSEK.
- Nettoomsättningen för januari - december 2019 var 184,8 (-) MSEK.
- Periodens resultat efter skatt uppgick till -32,6 (-132,0) MSEK.
- Resultat per aktie före och efter utspädning uppgick till -0,88 (-5,09) SEK.

**Sammanfattning av väsentliga händelser under perioden 1 oktober – 31 december 2019**

- Calliditas fick i oktober 2019 positiv vägledning från European Medicines Agency (EMA), där myndigheten uttryckte support för ett villkorat godkännande (*conditional marketing agreement*, CMA) för bolagets ledande läkemedelskandidat Nefecon, med sedvanligt förbehåll för kvalitet på den fullständiga rapporteringen som presenteras vid ansökningstillfället
- En milstolpsbetalning på 5 miljoner dollar från Everest Medicines föll ut i december 2019 som en del av licensavtalet under vilket Everest ska utveckla och kommersialisera Calliditas ledande läkemedelskandidat Nefecon i den kinesiska regionen och Singapore.
- I december 2019 slutfördes rekryteringen av de 200 patienter som behövs för del A i bolagets registreringsgrundande fas 3-studie NeflgArd. Utläsning av top line-data från del A av studien förväntas ske under Q4 2020.

**Sammanfattning av väsentliga händelser efter rapporteringsperiodens slut**

- I januari 2020 beslutade Calliditas styrelse att utreda om det finns förutsättningar för ett potentiellt erbjudande av värdepapper i Calliditas i USA och en pressrelease publicerades med rubriken "Calliditas lämnar in utkast till registreringsdokument för notering av amerikanska depåbevis i USA".

## Investerarpresentation 14 februari kl 14:00

Webcast med telekonferens för Q4, 14 februari 2020, kl 14:00 (Europa/Stockholm)

Webcast: <https://tv.streamfabriken.com/calliditas-therapeutics-q4-2019>

Telekonferens: SE +46850558355 UK: +443333009034 US: +18446251570

### VD-ord

## Ett positivt år

Under det sista kvartalet 2019 uppnådde vi en viktig milstolpe: rekryteringen av samtliga 200 patienter till del A i vår registreringsgrundande fas 3-studie NeflgArd. Detta gör det möjligt för oss att utläsa top line-data under Q4 2020, som vi utlovade i början av studien, baserat på 9 månaders behandlingsperiod. Det är verkligen en fantastisk prestation av bolaget, särskilt när vi har att göra med en sällsynt sjukdom. Det finns ett gammalt talesätt: "Framgång har många



fäder, medan ett misslyckande är föräldralöst". Det är uppenbart sant också här. Framgången i detta fall berodde på en mängd faktorer, inklusive fokus på att planera och dimensionera studien tillräckligt i början, spendera mycket tid på att utvärdera kliniker, göra genomförbarhetsstudier och redan från början ta utmaningen med patientrekryteringen på allvar. Den var också beroende av CRO-val, samarbete med och övervakning av densamma, samt fokus och otroligt hårt arbete från vårt eget kliniska team. Slutligen är det dock rekryteringsarbetet som faller på de lokala läkarna och sjuksköterskorna som i slutändan lägger tid på att försöka identifiera lämpliga patienter och registrera dem i studien.

Men utöver alla dessa tekniska, praktiska aktiviteter och komplexa interaktioner så återspeglar detta också vår företagskultur och viktigast av allt är de reella handlingarna som utförts. Jag kan inte beskriva hur stolt jag var över att se hur hela företaget, oavsett avdelning och rang, under det tredje och fjärde kvartalet antingen jobbade extra hårt med fullt fokus på patientrekryteringen, eller hejade på och försökte bidra på alla möjliga sätt för att se till att vi nådde vårt mål. Men det var inte bara företaget - det var vår CRO, våra läkare, nationella samordnare och rådgivande styrelseledamöter som hejade fram oss alla och medverkade i vårt arbete för att nå vårt mål.

Den 200:e patienten randomiserades den 22 december i Argentina, och plötsligt hade vi gjort det! Vi hade avslutat rekryteringen för behandling av en sällsynt sjukdom enligt budget och i tid. Oavsett vad som kan komma i framtiden, detta kvartal var verkligen anmärkningsvärt och något jag kommer att minnas och behålla för evigt. Vi bör alla stanna upp en minut och njuta av våra framsteg, särskilt eftersom läkemedelsutveckling erbjuder många bakslag och utmaningar.

En annan viktig händelse under kvartalet var godkännandet av den kinesiska regulatoriska myndigheten NMPA av det IND som lämnats in i Kina av Everest Medicines, som vi slöt ett licensavtal med där de skall utveckla och kommersialisera Nefecon i den kinesiska regionen och Singapore. Vi har arbetat intensivt med Everest för att assistera med detta, och vi är mycket glada över beslutet som gör det möjligt för kliniker i Kina att delta i Part B av fas 3-studien och därmed påskynda lanseringen av Nefecon på den kinesiska marknaden. Samarbetet visar sig vara lika professionellt och fruktbart som vi hoppades på när vi inledde vårt samarbete. Godkännandet av IND utlöste en av flera milstolpar enligt avtalet, vilket resulterade i en betalning på 5 MUSD (ca. 47 Mkr) till Calliditas under fjärde kvartalet, vilket gav ytterligare kapital för våra framtida kliniska utvecklingsprogram. Som jag tidigare har påpekat är den kinesiska marknaden mycket stor och återspeglar verkligen det betydande medicinska behovet av denna sjukdom. Vi är mycket glada över att vi fortsätter att leverera på vårt mål att vara det första godkända läkemedlet för IgA-nefropati (IgAN) i Kina, och vi är imponerade av Everests resultat hittills för att driva detta program framåt så effektivt.

Vi anordnade också vår allra första kapitalmarknadsdag den 4 november för att ge ytterligare insikter och information om företagets huvudprojekt samt våra pipeline-indikationer. Vi fick äran att vara värd för professor Jonathan Barratt vid evenemanget, som är en ledande opinionsledare inom området IgAN. Vi hade också en möjlighet att ge mer information om vår amerikanska pre-kommersiella verksamhet och nyligen genomförda marknadsundersökningar genom vår VP Commercial North America. Det var ett välbesökt evenemang som vi hoppas möjliggjorde för investerare som var där personligen eller via internet att få en bättre inblick i vår strategi och genomförandeberedskap.

Trots det enorma fokuset och vikten av rekrytering av patienter och våra befintliga samarbeten fortsatte vi att skapa alternativ för verksamheten framöver. Under det fjärde kvartalet inledde vi en process med amerikanska rådgivare för att utarbeta ett prospekt, som konfidentiellt inlämnades till SEC, vilket ger en potentiell väg till en finansiering och notering på NASDAQ i USA under 2020. Detta är beroende av SEC:s och NASDAQ:s granskning, marknadsvillkor, investerares efterfrågan och aktieägarnas godkännande. Vi ser fram emot att utforska denna potentiella alternativa väg ytterligare under 2020.

### Utmaningar vad gäller patientrekrytering

Jag har delvis täckt detta ämne tidigare, men man kan faktiskt inte spendera för mycket tid på frågan om rekrytering inom life science. Patientrekrytering är allmänt erkänt som en avgörande faktor för framgång för kliniska prövningar. Trots detta misslyckas ett stort antal försök att nå rekryteringsmål, vilket har viktiga vetenskapliga, ekonomiska och etiska konsekvenser. Det finns också konsekvenser för utredare, studiedeltagare och sponsorer. En analys från 2015 av registrerade studier avslöjade att 19% stoppades eller avslutades tidigt på grund av oförmågan att locka tillräckligt många deltagare. För det andra når så många som 86% av de kliniska prövningarna inte rekryteringsmål inom de angivna tidsperioderna. I många fall registrerar 50% av kliniker en eller ingen patient till studien. Data tyder på att tidslinjer ofta har fördubblats på grund av låga rekryteringsnivåer.

Trots decennier med fokus på olika sätt att förbättra rekryteringen kvarstår problemen. Så vad, enligt analysen, ligger till grund för förseningar av rekryteringen? Bland faktorer som potentiellt kan bidra till förseningar finns till exempel studiedesign, bemanningsproblem och rekryteringsstrategier. Dessutom har problem som patientkontakt och bekvämlighet, inklusive tillhandahållande av grundläggande ekonomiskt stöd för resekostnader och annat patientstöd, visat sig vara viktiga.

Vi lever också i en värld där det ofta finns många konkurrerande studier. Läkare såväl som patienter har ofta ett val om vilken studie som de ska delta i och har tillgång till mer information om resultaten från tidigare studier och läkemedelsprofiler via digitala medier och sociala nätverk.

Det finns ett uttryck "det behövs en hel by", som ursprungligen användes i samband med att uppfostra ett barn. Detta är inte helt fel i detta sammanhang heller. Komplexiteten i logistik- och kommunikationsstrategierna kring att leverera en stor global studie är häpnadsväckande. Det handlar om ett otroligt stort antal individuella och organisatoriska komponenter, alla med sina egna specifika skäl för att delta, allt som måste hanteras och anpassas på lämpligt sätt för att uppnå ett gemensamt mål. Inom denna mycket komplexa och strukturerade process måste politiska, taktiska, ekonomiska, strategiska och personliga mål övervägas, förstås och navigeras. Inte konstigt att i 86% av fallen levereras inte studierna i tid.

Det finns självklart en mängd skäl till varför rekrytering är en verklig utmaning, inklusive patientens oro relaterade till medicinens säkerhet, att randomiseras till placebo och att behöva genomgå invasiva tester. Å andra sidan verkar det fortfarande finnas en brist på kommunikation om tillgängligheten av kliniska prövningar, med många patienter som klagar över brist på tillgång och information om potentiella alternativ. Under alla omständigheter känns det som om branschen måste fortsätta att försöka förbättra patientrekryteringsprocesser och hitta strategier för att få bättre kontakt med både utredare och patienter, samtidigt som vi i många länder stöter på en skenande kostnadsbild för att genomföra kliniska prövningar.

## Ett år fokuserat på värdeskapande och tillväxt

2019 visade sig bli ett exceptionellt år för företaget. Efter att ha randomiserat den första patienten i NeflgArd-studien i november 2018 var vårt fulla fokus under 2019 att uppnå målet om att slutföra rekryteringen före årets slut, som vi satt som vårt mål. Flera parallella strategier initierades och genomfördes för att säkerställa framgång. Engagemang med patientorganisationer, utveckling och lansering av en webbplats som gör det möjligt för patienter att identifiera kliniker nära dem, interaktion med ledande opinionsbildare, etablering av nationella samordnare och kontinuerlig interaktion med vår CRO var bara några av de initiativ som framgångsrikt genomförts under året.

Vi tittade också till Kina, där det finns ett betydande medicinskt behov på grund av sjukdomens höga prevalens. Vi inledde en strukturerad process för att hitta en partner med stark lokal närvaro och djup förståelse för både det förändrade regulatoriska regelverket och kliniska verkligheten. I juni kunde vi tillkännage ett utlicensieringsavtal med en initial betalning på 15 miljoner dollar och upp till ytterligare 106 miljoner dollar i regulatoriska och försäljningsbaserade milstolpsbetalningar (totalt ca. 1,1 miljarder SEK) med Everest Medicines, vilket förhoppningsvis kan bana väg för ett godkännande av Nefecon också i Kina. Det faktum att kinesiska National Medical Products Administration (NMPA) accepterade IND som är relaterad till införlivandet av Kina i den pågående fas 3-studien bara sex månader senare talar direkt till denna starka lokala kompetens och engagemang, liksom båda företagens förmåga att lyckas hantera ett intensivt och komplext samarbete.

Ett annat område med stor strategisk betydelse för företaget var att granska och om möjligt bygga vidare på våra tidigare positiva regulatoriska interaktioner. Detta ledde till att vi diskuterade med såväl FDA som EMA under 2019, vilket resulterade i ytterligare positiva resultat i båda fallen. FDA accepterade en revidering av designen av vår bekräftande del B av NeflgArd-studien, vilket avsevärt minskade studiens storlek och varaktighet. Den överenskomna tvååriga eGFR-baserade end point för del B har också en stark relation med den eGFR-relaterade sekundära end point som vi kommer att tillhandahålla som en del av vår top line-utläsning under Q4 2020, vilket ger ytterligare förutsägbarhet och komfort relaterad till den eGFR-relaterade end point som förväntas bli tillgänglig 2022. Våra interaktioner med EMA resulterade i stöd från myndigheten relaterad till villkorat godkännande för Nefecon i Europa, vilket vi är mycket glada över och som potentiellt ger en betydande acceleration till ett marknadstillträde.

Under året avslutade vi även en inlicensieringstransaktion med Dr. Falk Pharma, vilket innebär att vi har adderat en produkt till vår produktportfölj som vi tror har potential att ge mervärde till ett framtida USA-fokuserat leverfranchise. Slutligen fortsatte vi med att bygga ut våra resurser och addera ytterligare erfarna medarbetare till organisationen. För att kunna leverera framsteg på alla dessa fronter parallellt krävs erfaren och kompetent personal som kan ta egna initiativ inom sitt kompetensområde och leverera resultat gentemot givna strategiska mål i tid. Att fortsätta att bygga en sådan organisation är en av våra största utmaningar, men även något som ger en enorm tillfredsställelse. Detta är en fantastisk del av mitt jobb. För detta ändamål har vi lagt till nyckelkompetens inom områdena regulatoriska frågor, hantering av kliniska prövningar, medical affairs, QA och affärsutveckling. Vi kommer att fortsätta att komplettera organisationen när vi växer och 2020 kommer att se en fokuserad insats för att bygga ut vår amerikanska organisation i förberedelse för vår kommersiella lansering.

Det var ett spännande år och vi som företag uppnådde flera viktiga milstolpar under 2019. Jag ser fram emot att fortsätta växa, skapa värde och bygga vidare på den plattform som vi nu har skapat, och jag hoppas att ni alla kommer att vara med oss på den fortsatta resan under 2020, då vi förväntas se utläsningen av vår viktiga fas 3-studie NeflgArd under fjärde kvartalet.

Renée Aguiar-Lucander, VD

## Verksamhetsöversikt

# Nefecon – en översikt

Nefecon är en oral formulering av budesonid, som är en lokalverkande och effektiv kortikosteroïd. Den utvecklades av Calliditas som en potentiell sjukdomsmodifierande behandling för patienter med IgAN som löper risk att utveckla njursvikt. Nefecon har erhållit sär läkemedelsklassificering från både FDA och EMA.

Calliditas har samtliga rättigheter för utveckling och kommersialisering av Nefecon globalt. I Kina och Singapore har dock Calliditas utlicensierat utveckling och kommersialisering till Everest Medicines. Calliditas har startat den registreringsgrundande Fas 3-studien NeflgArd med Nefecon som uppföljning på den framgångsrikt genomförda placebokontrollerade randomiserade Fas 2b-studien (NeflgAn), som visade en uttalad minskning av proteinuri och en stabilisering av glomerulär filtrationshastighet (eGFR).

Nefecon är en unik formulering, vilken kombinerar en specifik fördröjningseffekt med en koncentrerad frisättning av den aktiva substansen inom ett målområde i tarmen vilket hämmar sjukdomsförloppet i njurarna. Nefecon är främst verksam i ileum, den nedersta delen av tunntarmen, vilket är den kroppsdel där IgA-nefropati antas ha sitt ursprung, till följd av att det är där man finner den högsta koncentrationen av så kallade Peyers plack, vilket är lymfatisk vävnad som ligger bakom produktionen av sekretoriskt immunoglobulin A, eller IgA-antikroppar. Nefecons riktade leverans, som ger initialt fördröjd och därefter koncentrerad frisättning av det aktiva läkemedlet i ett begränsat område i tarmen, är det som skiljer ut produkten och leder till den kraftfulla effekten på sjukdomen och dess progression.

Nefecon levererar en potent immunosuppressiv, budesonid, till området i tarmen där de IgA-antikroppar som antas orsaka sjukdomen bildas. Budesonid har använts i flera decennier för att behandla patienter inom andra indikationer där lokal behandling tillämpas. Det bryts snabbt ned efter att det kommit in i cirkulationssystemet, vilket är perfekt för tillämpningar med lokal administrering, vilket därmed minskar de biverkningar som observeras vid systemisk användning av kortikosteroider.

## NeflgArd-studien

Den 13 november 2018 meddelade Calliditas att den första patienten var randomiserad i bolagets registreringsgrundade kliniska Fas 3-studie NeflgArd för patienter med IgA nefropati (IgAN).

Den randomiserade, dubbelblinda, placebokontrollerade Fas 3-studien har en i allt väsentligt liknande utformning som den framgångsrika Fas 2b-studien NEFIGAN. NeflgArd-Studien är uppdelad i två faser: en behandlingsfas (Del A) som är designad att mäta effektivitet- och säkerhetsdata som används för ansökan om marknadsgodkännande och en observationsfas (Del B). Upp till 360 patienter med IgAN, bekräftad genom biopsi, och som behandlas med optimal eller högst tolererbar blodtrycksmedicin kommer att randomiseras i denna studien i 19 länder i Nord- och Sydamerika, Asien, Europa och Australien.

I A-delen kommer patienterna antingen få 16 mg Nefecon eller placebo dagligen i nio månader tillsammans med optimerad RAS-behandling, följt av en observationsperiod om tre månader. De 200 första randomiserade patienterna i studien, vilka var färdigrekryterade i december 2019, kommer ingå i utläsningen som kommer att utgöra grunden för ett accelererat/villkorat godkännande av amerikanska myndigheten Food and Drug Administration (FDA) och europeiska European Medicines Agency (EMA). Därefter fortsätter samtliga patienter in i Del B, som är en tolv månaders observationsfas, där deras eGFR (relativ glomerulär filtreringshastighet) kommer att följas och mätas.

Det primära effektmåttet i Del A är en minskning av proteinuri och kommer att utgöra grunden för ett accelererat godkännande i USA och villkorat godkännande i EU. Även om myndigheterna vanligtvis krävt eGFR som ett primärt effektmått för studier av kronisk njursjukdom har FDA accepterat proteinuri, efter omfattande dataanalys av Calliditas i samarbete med Tufts University, som primärt effektmått för accelererat godkännande av Nefecon. Även EMA har accepterat minskning av proteinuri som primärt effektmått, med sedvanligt förbehåll för kvaliteten av den fullständiga datauppsättningen, för villkorat godkännande i EU.

Baserat på positiva data, kommer detta att möjliggöra kommersialisering och marknadsföring av läkemedlet i USA och Europa. I Kina och Singapore har Calliditas utlicensierat utvecklings- och kommersiella rättigheter till Everest Medicines.

Bolaget förväntar sig att ha nödvändig data tillgängliga för att lämna in ansökan om ett accelererat/villkorat godkännande till FDA och EMA under det första halvåret 2021.

Studieanalysen av Del B är utformad enligt konservativa statistiska antaganden för att kunna validera proteinuri som en surrogatmarkör. Nefecon kommer inte administreras i denna uppföljningsfas, då den är utformad för att mäta förändring i eGFR. Utläsningen av primära data på 360 patienter, vilket utgör basen för att ansöka om ett fullständigt godkännande, förväntas ske under 2022.

## IgA-nefropati - en sällsynt sjukdom med ej tillgodosett medicinskt behov

Som för många andra sällsynta sjukdomar finns det begränsad dokumentation avseende förekomsten och incidensen av IgA-nefropati (IgAN). Det finns inte tillräckligt med kunskap om sjukdomen, vare sig hur den uppstår eller hur den fortskrider. För att komma till rätta med dessa brister har Calliditas spelat en avgörande roll genom att stödja forskning och samarbeta med andra organisationer och experter för att kunna bidra till en bättre förståelse av sjukdomen.

### Situationen för nefrologi

Idag lider över 30 miljoner amerikaner av njursjukdomar, varav 700 000 lider av terminal njursvikt (*end-stage renal disease*, ESRD).

Under de senaste årtiondena har få nya läkemedel mot njursjukdomar godkänts. Dessutom släpar antalet kliniska studier inom njursjukdomar efter de flesta andra terapeutiska områden. Vidare kan vissa produkter som finns på marknaden för att behandla andra organ och sjukdomar ha negativa biverkningar som drabbar njurarna.

Eftersom de finansiella konsekvenserna för hälsovården och kostnaderna för njursjukdomar fortsätter att öka kräver vård av och säkerhet för dessa patienter större uppmärksamhet. Färska regulatoriska initiativ, som FDA:s godkännande av en surrogatmarkör, är av betydelse för de företag som arbetar inom detta område och som hoppas kunna omvandla forskning till läkemedel för dessa patienter.

## Sjukdomsprofil

Immunoglobulin A-nefropati eller IgA-nefropati (IgAN, även kallad Bergers sjukdom) beskrevs först av Berger och Hinglais 1968.<sup>1</sup> IgAN kännetecknas av att IgA-antikroppar inlagras i njurarna, vilket orsakar inflammation och njurskador som påverkar njurarnas förmåga att filtrera slaggprodukter från blodet.

IgAN är den vanligaste orsaken till glomerulonefrit (njurinflammation) i världen.<sup>2</sup>

Sjukdomen är mycket varierande, både ur ett kliniskt och patologiskt perspektiv. De kliniska symptomen omfattar allt från blod i urinen till nefropati med snabbt förlopp. Tillståndet leder ofta till kronisk njurskada. Patologin är inte helt klargjord, men IgAN anses numera vara en sjukdom med avlagring av immunkomplex.

IgAN kan uppträda i alla åldrar, men den kliniska diagnosen sker vanligen när patienten är i 20- eller 30-årsåldern och är mer vanlig i män än kvinnor, speciellt i västvärlden. Det uppskattas att upp till 50 procent av patienterna med IgAN utvecklar njursvikt inom 20 år. Sjukdomen har sär-läkemedelsstatus i Europa och USA med en diagnostiserad patientpopulation, enligt bolagets uppskattning, på omkring 200 000 personer i Europa och 130 000 - 150 000 i USA.

IgAN är mycket vanligare i Asien än i västvärlden. Av alla njurbiopsier som utförs i Kina är cirka 40% relaterade till IgAN. Baserat på detta så estimerar vi att IgA-nefropati påverkar cirka två miljoner personer i Kina, Hongkong, Taiwan och Macau.

# Särläkemedelsindikationer för leversjukdomar

Utöver IgAN bedömer Calliditas att Nefecons patenterade formulerings- och frisättningsmetod även har potential inom behandling av vissa andra autoimmuna sjukdomar baserat på den koncentrerade frisättningen i ileum och den relativt höga exponeringen i levern, såsom exempelvis leversjukdomen primär gallkolangit (PBC). I syfte att minska kostnader och förkorta tiden till godkännande och marknadstillträde har Calliditas inlicensierat Budenofalk 3mg kapsel för den amerikanska marknaden från Dr. Falk Pharma för att, i första hand, utveckla produkten inom autoimmun hepatit (AIH).

## Primär gallkolangit (PBC)

PBC är en progressiv och kronisk autoimmun leversjukdom som främst drabbar kvinnor. Sjukdomen startar i gallgångarna i levern. När gallgångarna förstörs av inflammationer samlas galla i levern vilket orsakar en förstörd levervolym, ett fenomen som kallas gallstas. Om tillståndet inte behandlas förstörs den aktiva levervävnaden och ersätts av fibrös vävnad.<sup>3</sup> Sjukdomen leder slutligen till skrumplever, vilket kräver levertransplantation. Det finns i dagsläget inga godkända läkemedel som specifikt riktar in sig på den autoimmuna reaktionen som antas orsaka PBC, eller de inflammatoriska effekter som kommer från den autoimmuna reaktionen. UDCA och Ocaliva är de enda medicinska behandlingar mot PBC som är godkända i USA av FDA. Ocaliva har fått sär-läkemedelsklassificering för behandling av PBC.

Det är från tidigare studier känt att systemisk steroidbehandling kan lindra sjukdomens symptom och förbättra levervärden i blodet och den histopatologiska bilden.<sup>4</sup> Varken i USA eller Europa finns det någon godkänd riktad steroidbehandling mot PBC. Calliditas bedömer att det

<sup>1</sup> Berger J, Hinglais N Les Depots Intercapillaires d'IgA – IgG. *J Urol Nephrol (Paris)* 1968 Sep.

<sup>2</sup> Cattran DC, Coppo R, Cook HT, et al. *The Oxford classification of IgA nephropathy: rationale, clinicopathological correlations, and classifications.* *Kidney Int* 2009 Jul.

<sup>3</sup> EASL Guidelines, *Journal of Hepatology* 2017 vol. 67;145-172

<sup>4</sup> EASL Guidelines, *Journal of Hepatology* 2017 vol. 67;145-172

finns ett betydande medicinskt behov som inte tillgodosetts av att förbättra resultaten av behandling av PBC som andra linjens behandling till de godkända behandlingarna med UDCA och Ocaliva. Calliditas har blivit beviljade sär läkemedelsklassifiering för behandling av PBC i USA.

### Autoimmun hepatit (AIH)

AIH är en sällsynt och kronisk leverinflammation. Orsaken till sjukdomen är okänd, men det finns teorier om att faktorer såsom miljö, autoimmuna reaktioner och en genetisk benägenhet samverkar och orsakar inflammatoriska och fibrotiska processer i levern. Sjukdomen yttrar sig ofta som en långsamt framväxande kronisk sjukdom i levern, vilket leder till olika grader av skrumplever med komplikationer som leversvikt och levercancer.

AIH är en sällsynt sjukdom och det finns få populationsbaserade, epidemiologiska studier. En prevalens om 17 per 100 000 har rapporterats, vilket tyder på att det skulle finnas omkring 50 000 – 80 000 patienter i USA och uppfyller kriterierna för en sär läkemedelssjukdom.<sup>5</sup>

Det finns för närvarande inte några godkända läkemedel för behandling av AIH i USA. Calliditas bedömer att kombinationen av expertisen inom klinisk utveckling och regulatorisk verksamhet som Calliditas besitter, samt inlicensieringen av Budenofalk genererar en attraktiv möjlighet att nå ut till marknaden inom en relativt kort tidsperiod. Calliditas har blivit beviljade sär läkemedelsklassifiering för behandling av AIH i USA.

## Väsentliga händelser under perioden 1 januari – 31 december 2019

- Calliditas beviljades sär läkemedelsstatus av FDA för behandling av autoimmun hepatit (AIH). Det uppskattas att patientpopulationen i USA uppgår till mellan 50 000 – 80 000 patienter.
- Calliditas beviljades sär läkemedelsstatus av FDA för behandling av primär gallkolangit (PBC). Calliditas bedömer att det finns ett betydande medicinskt behov som inte tillgodosetts av att förbättra resultaten av behandling av PBC som andra linjens behandling till de godkända behandlingarna med UDCA och Ocaliva.
- Årsstämma för Calliditas hölls i maj och årsstämman beslutade bland annat om nyval av Elmar Schnee (ordförande) och Diane Parks till styrelsen.
- Calliditas och Everest Medicines ingick i juni ett licensavtal rörande utveckling och kommersialisering av Calliditas ledande läkemedelskandidat Nefecon i den kinesiska regionen och Singapore för IgA-nefropati. Enligt avtalet fakturerade Calliditas 15 miljoner USD när avtalet signerats där 138,2 miljoner SEK intäktsfördes i det andra kvartalet 2019 när licensrättigheterna övergick, samt potentiella framtida delbetalningar kopplade till fördefinierade milstolpar under den fortsatta utvecklingen, regulatoriska processen och kommersialiseringen kan uppgå upp till ytterligare 106 miljoner USD (cirka 1,0 miljard SEK), inkluderat en option värd upp till 20 miljoner USD (cirka 190 miljoner SEK) för utveckling av Nefecon inom andra potentiella indikationer. Everest Medicines kommer även att betala royaltyersättning på försäljning.
- Calliditas genomförde i juli en riktad nyemission om 3,5 miljoner aktier och tillfördes därigenom cirka 210 miljoner SEK före transaktionskostnader med syfte att expandera pågående forskningsprogram med ytterligare studier, bl.a kronisk dosering, samt accelerera aktiviteter gällande projektportföljen. Nyemissionen tecknades av svenska och internationella institutionella investerare, däribland den USA baserade specialistfonden BVF Partners.
- Calliditas ingick i augusti ett exklusivt inlicensieringsavtal för den amerikanska marknaden avseende Budenofalk 3mg oral kapsel med Dr Falk Pharma. Calliditas kommer att utnyttja

<sup>5</sup> Sahebjam and Vierling, *Front Med.* 2015 Jun;9(2): 187-219



Dr. Falks kliniska data och expertis inom leverindikationer, såsom autoimmun hepatit (AIH), i syfte att minska utvecklingskostnader och potentiellt påskynda godkännande och marknadsstillträde. Avtalet består av en initial betalning på 1,5 miljoner EUR (cirka 16 miljoner SEK) med ytterligare regulatoriskt relaterade betalningar vilket förutsätter marknadsgodkännande från FDA. Det totala avtalsvärdet uppgår till 40 miljoner EUR (cirka 428 miljoner SEK), inklusive framtida försäljningsmilstolpar och omfattar utöver detta även typiska royalties. För ytterligare information se not 9.

- Calliditas fick i september positiv feedback från FDA som har betydande påverkan på den bekräftande delen av den pågående fas 3 studien NeflgArd. FDA accepterade ett tvåårigt eGFR-baserat effektmått för del B av studien, vilket resulterar i en betydligt kortare total studietid från upp till sex år till under fyra år, samt en reduktion av totala antalet patienter från 450st till 360st som resulterar i betydande sänkta kostnader för studien.
- Calliditas fick i oktober positiv vägledning från European Medicines Agency (EMA), där myndigheten uttryckte support för ett villkorat godkännande (*conditional marketing agreement*, CMA) för bolagets ledande läkemedelskandidat Nefecon, med sedvanligt förbehåll för kvalitén av den fullständiga datauppsättningen som presenteras vid registreringstillfället.
- En milstolpsbetalning på 5 miljoner dollar (cirka 47 miljoner kronor) från Everest Medicines föll ut i december som en del av licensavtalet under vilket Everest ska utveckla och kommersialisera Calliditas ledande läkemedelskandidat Nefecon i den kinesiska regionen och Singapore. Den kinesiska myndigheten National Medical Products Administration (NMPA, tidigare CFDA) godkände Everest Medicines IND (Investigational New Drug application) för Nefecon i Kina, vilket är ett viktigt steg mot att kliniker i Kina kan rekrytera patienter för den pågående globala fas 3-studien NeflgArd för behandling av patienter med IgA-nefropati (IgAN).
- I december slutfördes rekryteringen av de 200 patienter som behövs för del A i bolagets registreringsgrundande fas 3-studie NeflgArd. Utläsning av top line-data från del A av studien förväntas ske under Q4 2020. Om positiva resultat från dessa 200 randomiserade patienterna uppnås, planerar Calliditas därefter att ansöka om marknadsgodkännande hos myndigheterna i USA och EU under första halvåret 2021.

## Väsentliga händelser efter periodens slut

- I januari 2020 beslutade Calliditas styrelse att utreda om det finns förutsättningar för ett potentiellt erbjudande av värdepapper i Calliditas i USA och en pressrelease publicerades med rubriken "Calliditas lämnar in utkast till registreringsdokument för notering av amerikanska depåbevis i USA".

## Finansiell översikt

# Nyckeltal

(Tkr)	okt-dec		jan-dec	
	2019	2018	2019	2018
Nettoomsättning	46 586	-	184 829	-
Forsknings- och utvecklingskostnader/totala rörelsekostnader, % <sup>1</sup>	65%	76%	70%	75%
Periodens resultat	(23 050)	(44 224)	(32 578)	(132 049)
Resultat per aktie före och efter utspädning, SEK	(0,60)	(1,26)	(0,88)	(5,09)
Kassaflöde från den löpande verksamheten	(45 435)	(42 486)	(71 011)	(128 191)
Antal registrerade aktier vid periodens slut	38 707 638	35 202 347	38 707 638	35 202 347
Eget kapital vid periodens slut	788 071	618 175	788 071	618 175
Soliditet vid periodens slut % <sup>1</sup>	93%	95%	93%	95%
Likvida medel vid periodens slut	753 540	646 175	753 540	646 175

<sup>1</sup> Nyckeltal som inte är IFRS, se definitioner.

## Januari – december 2019

### Intäkter

Intäkter på 46,6 (-) MSEK redovisades för det fjärde kvartalet 2019 och härrör från att godkännandet av ansökan om IND i Kina utlöste en milstolpebetalning i utlicensieringsavtalet med Everest Medicines avseende Nefecon i Kina. Intäkterna för helåret 2019 var 184,8 (-) MSEK och härrör i sin helhet från ovan utlicensiering. För ytterligare information se not 4.

### Rörelsens kostnader

Rörelsens totala kostnader för det fjärde kvartalet 2019 uppgick till 64,6 (44,7) MSEK och för helåret 2019 uppgick rörelsens kostnader till 212,8 (132,5) MSEK.

### Forsknings- och utvecklingskostnader

Kostnaderna för forsknings- och utveckling ökade med 7,5 MSEK till 41,7 (34,2) MSEK under det fjärde kvartalet 2019. Forsknings- och utvecklingskostnaderna för helåret 2019 ökade med 50,6 MSEK till 149,8 (99,3) MSEK. Kostnadsökningen för både det fjärde kvartalet liksom helåret är relaterad till driften av NeflgArd-studien för Nefecon där första patienten införlivades i studien i Q4 2018 och 200 rekryterade patienter rapporterades i december 2019.

### Administrations- och försäljningskostnader

Under fjärde kvartalet 2019 ökade administrations- och försäljningskostnaderna med 14,9 MSEK till 23,8 (8,9) MSEK. Ökningen för det fjärde kvartalet förklaras huvudsakligen av kommersiella förberedelser inför en potentiell framtida lansering av Nefecon i USA samt en ökning av administrativa kostnader som följer av en hög aktivitetsnivå och en växande organisation. För helåret 2019 var ökningen 31,8 MSEK till 62,9 (31,1) MSEK. Ökningen för helåret 2019 förklaras även

den huvudsakligen av ovan nämnda kommersiella förberedelser, transaktionsrelaterade kostnader i samband med utlicensieringen av Nefecon till Everest Medicines i Kina samt en växande organisation.

#### Övriga rörelseintäkter/rörelsekostnader

Övriga rörelseintäkter var 0,9 (-) MSEK för fjärde kvartalet 2019 respektive 4,4 (-) MSEK för helåret 2019 och består av valutakursdifferenser på tillgångar av rörelsekaraktär.

Övriga rörelsekostnader var - (1,7) MSEK för fjärde kvartalet 2019 respektive 4,5 (2,1) MSEK för helåret 2019 och består av valutakursdifferenser på skulder av rörelsekaraktär.

#### Skatt

Skattekostnader om 0,1 (-) MSEK redovisades för både fjärde kvartalet 2019 och helåret 2019 och är hänförliga till inkomstskatt för det amerikanska dotterbolaget Calliditas Inc. Inga skattekostnader redovisas i moderbolaget eftersom det har skattemässiga underskott som ej aktiverats, då framtida intäkter ej bedömts vara tillräckligt säkra för att möjliggöra aktivering av uppskjutna skattefordringar.

#### Resultat

Periodens resultat uppgick till -23,1 (-44,2) MSEK för det fjärde kvartalet 2019 och -32,6 (-132,0) MSEK för helåret 2019, vilket gav ett resultat per aktie före och efter utspädning, om -0,60 (-1,26) SEK respektive -0,88 (-5,09) SEK. Förbättringen av periodens resultat för både det fjärde kvartalet 2019 och helåret 2019, jämfört med samma period 2018, härrör främst från att intäkterna från utlicensieringen av Nefecon i Kina till Everest Medicines överstiger den ökade kostnaden för driften av NeflgArd studien och de kommersiella förberedelserna.

#### Kassaflöde, investeringar och finansiell ställning

Kassaflöde från den löpande verksamheten för det fjärde kvartalet 2019 uppgick till -45,4 (-42,5) MSEK och -71,0 (-128,2) MSEK för helåret 2019. Det negativa kassaflödet från den löpande verksamheten under det fjärde kvartalet 2019 är enligt plan och förklaras av bolagets ökade kliniska aktiviteter samt arbete inom bolagets administrativa- och kommersiella funktioner.

Kassaflödet från investeringsverksamheten var -0,3 (-) SEK för det fjärde kvartalet och -18,1 (-) MSEK för helåret 2019, vilket härrör främst från inlicensieringen av Budenofalk 3mg från Dr. Falk Pharma.

Kassaflödet från finansieringsverksamheten under det fjärde kvartalet 2019 var -1,3 (2,3) MSEK, samt 198,8 (716,6) MSEK för helåret 2019, vilket härrör främst från den riktade nyemission om 199,4 MSEK netto som genomfördes i juli 2019.

Kassaflödet för det fjärde kvartalet 2019 uppgick till -47,0 (-40,2) MSEK och 109,8 (588,4) MSEK för helåret 2019. Likvida medel per 31 december 2019 uppgick till 753,5 (646,2) MSEK.

#### Koncernens förändring av eget kapital och antal aktier

Per den 31 december 2019 uppgick eget kapital till 788,1 (618,2) MSEK. Antalet aktier ökade under helåret 2019 med 3 505 291 till följd av riktad nyemission i juli 2019 och uppgick per 31 december 2019 till 38 707 638 (35 202 347).

#### Anställda

Per den 31 december 2019 uppgick antalet anställda i Calliditas Therapeutics till 16 (10) personer. Medeltalet anställda under det fjärde kvartalet 2019 var 16 (10) samt 14 (10) för helåret 2019.

### **Incitamentsprogram**

Under det andra kvartalet 2019 implementerades teckningsoptionsprogram 2019/2022 för personal och aktierättsprogram LTIP 2019 för styrelse som beslutades av årsstämman i maj 2019. För mer information se not 8.

### **Moderbolaget**

Eftersom verksamheten för moderbolaget i allt väsentligt överensstämmer med den för koncernen gäller kommentarerna för koncernen i stort också för moderbolaget.

### **Revisors granskning**

Denna rapport har ej blivit granskad av bolagets revisor.

Stockholm 14 februari 2020

Renée Aguiar-Lucander

VD

## Finansiella rapporter

### Koncernens resultaträkning i sammandrag

(Tkr)	Noter	okt-dec		jan-dec	
		2019	2018	2019	2018
Nettoomsättning	4	46 586	-	184 829	-
<b>Bruttoresultat</b>		<b>46 586</b>	<b>-</b>	<b>184 829</b>	<b>-</b>
<b>Rörelsens kostnader</b>					
Forsknings- och utvecklingskostnader		(41 709)	(34 172)	(149 826)	(99 260)
Administrations- och försäljningskostnader		(23 790)	(8 896)	(62 882)	(31 132)
Övriga rörelseintäkter		870	-	4 385	-
Övriga rörelsekostnader		-	(1 677)	(4 525)	(2 090)
<b>Summa rörelsekostnader</b>		<b>(64 629)</b>	<b>(44 745)</b>	<b>(212 848)</b>	<b>(132 482)</b>
<b>Rörelseresultat</b>		<b>(18 043)</b>	<b>(44 745)</b>	<b>(28 019)</b>	<b>(132 482)</b>
Finansnetto		(4 930)	521	(4 482)	433
<b>Resultat före skatt</b>		<b>(22 973)</b>	<b>(44 224)</b>	<b>(32 501)</b>	<b>(132 049)</b>
Skatt på periodens resultat		(77)	-	(77)	-
<b>Periodens resultat</b>		<b>(23 050)</b>	<b>(44 224)</b>	<b>(32 578)</b>	<b>(132 049)</b>
Hänförligt till:					
Moderbolagets aktieägare		(23 050)	(44 224)	(32 578)	(132 049)
Resultat per aktie före och efter utspädning (SEK)		(0,60)	(1,26)	(0,88)	(5,09)

### Koncernens rapport över totalresultat i sammandrag

(Tkr)	okt-dec		jan-dec	
	2019	2018	2019	2018
Periodens resultat	(23 050)	(44 224)	(32 578)	(132 049)
<b>Poster som kan komma att omklassificeras till resultatet</b>				
Omräkningsdifferens	(38)	13	(11)	6
<b>Periodens totalresultat</b>	<b>(23 088)</b>	<b>(44 211)</b>	<b>(32 589)</b>	<b>(132 043)</b>
Hänförligt till:				
Moderbolagets aktieägare	(23 088)	(44 211)	(32 589)	(132 043)
<b>Periodens totalresultat</b>	<b>(23 088)</b>	<b>(44 211)</b>	<b>(32 589)</b>	<b>(132 043)</b>

## Koncernens balansräkning i sammandrag

<i>(Tkr)</i>	<i>Noter</i>	<b>2019-12-31</b>	<b>2018-12-31</b>
<b>Anläggningstillgångar</b>			
Immateriella tillgångar	9	16 066	-
Materiella anläggningstillgångar	2	6 063	107
Finansiella anläggningstillgångar		1 939	341
<b>Summa anläggningstillgångar</b>		<b>24 068</b>	<b>448</b>
<b>Omsättningstillgångar</b>			
Kundfordringar		46 586	-
Övriga kortfristiga fordringar		21 006	1 794
Likvida medel	6	753 540	646 175
<b>Summa omsättningstillgångar</b>		<b>821 132</b>	<b>647 969</b>
<b>Summa tillgångar</b>		<b>845 200</b>	<b>648 417</b>
<b>Eget kapital</b>			
Aktiekapital		1 548	1 408
Övrigt tillskjutet kapital		1 274 664	1 072 319
Balanserade vinstmedel inklusive periodens resultat		(488 141)	(455 552)
<b>Summa eget kapital hänförligt till moderbolagets aktieägare</b>	5,7	<b>788 071</b>	<b>618 175</b>
<b>Långfristiga skulder</b>			
Långfristiga avsättningar	8	175	-
Övriga långfristiga skulder	2	3 584	-
<b>Summa långfristiga skulder</b>		<b>3 759</b>	<b>-</b>
<b>Kortfristiga skulder</b>			
Leverantörsskulder	6	24 384	22 643
Övriga kortfristiga skulder	2	3 471	904
Upplupna kostnader och förutbetalda intäkter	6	25 515	6 695
<b>Summa kortfristiga skulder</b>		<b>53 370</b>	<b>30 242</b>
<b>Summa eget kapital och skulder</b>		<b>845 200</b>	<b>648 417</b>

## Koncernens förändring av eget kapital i sammandrag

(Tkr)	Noter	okt-dec		jan-dec	
		2019	2018	2019	2018
<b>Ingående eget kapital</b>		809 967	659 568	618 175	33 176
Periodens resultat		(23 050)	(44 224)	-	(132 049)
Övrigt totalresultat		(38)	13	-	6
<b>Periodens totalresultat</b>		<b>(23 088)</b>	<b>(44 211)</b>	<b>(32 589)</b>	<b>(132 043)</b>
<b>Transaktioner med ägare</b>					
Nyemission	7	-	-	210 317	738 650
Kostnader för nyemission		-	-	(10 916)	(54 433)
Erhållna optionspremier	8	1 084	2 818	2 834	2 826
Aktierelaterade ersättningar	8	107	-	249	-
Kapitaltillskott från aktieägare		-	-	-	29 999
<b>Summa transaktioner med ägare</b>		<b>1 191</b>	<b>2 818</b>	<b>202 485</b>	<b>717 042</b>
<b>Utgående eget kapital</b>		<b>788 071</b>	<b>618 175</b>	<b>788 071</b>	<b>618 175</b>

## Kassaflödesanalys för koncernen i sammandrag

(Tkr)	Noter	okt-dec		jan-dec	
		2019	2018	2019	2018
<b>Den löpande verksamheten</b>					
Rörelseresultat		(18 043)	(44 745)	(28 019)	(132 482)
Justering för poster som inte ingår i kassaflödet		870	13	2 308	51
Erhållen ränta		926	-	926	6
Erlagd ränta		(106)	(1)	(325)	(8)
<b>Kassaflöde från den löpande verksamheten före förändringar av rörelsekapital</b>		<b>(16 353)</b>	<b>(44 733)</b>	<b>(25 110)</b>	<b>(132 433)</b>
Förändringar i rörelsekapital		(29 082)	2 247	(45 901)	4 242
<b>Kassaflöde från den löpande verksamheten</b>		<b>(45 435)</b>	<b>(42 486)</b>	<b>(71 011)</b>	<b>(128 191)</b>
Kassaflöde från investeringsverksamheten	9	(291)	-	(18 072)	-
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	7	(1 253)	2 258	198 835	716 572
<b>Periodens kassaflöde</b>		<b>(46 979)</b>	<b>(40 228)</b>	<b>109 752</b>	<b>588 381</b>
Likvida medel vid periodens början		805 075	685 871	646 175	57 352
Periodens kassaflöde		(46 979)	(40 228)	109 752	588 381
Kursdifferens i likvida medel		(4 556)	532	(2 387)	442
<b>Likvida medel vid periodens slut</b>		<b>753 540</b>	<b>646 175</b>	<b>753 540</b>	<b>646 175</b>

### Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

(Tkr)	Noter	okt-dec		jan-dec	
		2019	2018	2019	2018
Nettoomsättning	4	46 586	-	184 829	-
<b>Bruttoresultat</b>		<b>46 586</b>	<b>-</b>	<b>184 829</b>	<b>-</b>
<b>Rörelsens kostnader</b>					
Forsknings- och utvecklingskostnader		(41 709)	(34 172)	(149 826)	(99 260)
Administrations- och försäljningskostnader		(24 021)	(8 897)	(63 410)	(31 000)
Övriga rörelseintäkter		870	-	4 385	-
Övriga rörelsekostnader		-	(1 677)	(4 540)	(2 090)
<b>Summa rörelsekostnader</b>		<b>(64 860)</b>	<b>(44 746)</b>	<b>(213 391)</b>	<b>(132 350)</b>
<b>Rörelseresultat</b>		<b>(18 274)</b>	<b>(44 746)</b>	<b>(28 562)</b>	<b>(132 350)</b>
Finansnetto		(8 259)	540	(7 624)	427
<b>Resultat före skatt</b>		<b>(26 533)</b>	<b>(44 206)</b>	<b>(36 186)</b>	<b>(131 923)</b>
Skatt på periodens resultat		-	-	-	-
<b>Periodens resultat</b>		<b>(26 533)</b>	<b>(44 206)</b>	<b>(36 186)</b>	<b>(131 923)</b>

### Moderbolagets rapport över totalresultat i sammandrag

(Tkr)	okt-dec		jan-dec	
	2019	2018	2019	2018
Periodens resultat	(26 533)	(44 206)	(36 186)	(131 923)
Övrigt totalresultat	-	-	-	-
<b>Periodens totalresultat</b>	<b>(26 533)</b>	<b>(44 206)</b>	<b>(36 186)</b>	<b>(131 923)</b>



## Moderbolagets balansräkning i sammandrag

(Tkr)	Noter	2019-12-31	2018-12-31
<b>Anläggningstillgångar</b>			
Immateriella tillgångar	9	16 066	-
Inventarier		104	107
Finansiella anläggningstillgångar		2 040	3 830
<b>Summa anläggningstillgångar</b>		<b>18 210</b>	<b>3 937</b>
<b>Omsättningstillgångar</b>			
Kundfordringar		46 586	-
Övriga kortfristiga fordringar		21 005	1 793
Kassa och bank	6	752 448	645 903
<b>Summa omsättningstillgångar</b>		<b>820 039</b>	<b>647 696</b>
<b>Summa tillgångar</b>		<b>838 249</b>	<b>651 633</b>
<b>Eget kapital</b>			
Aktiekapital		1 548	1 408
Reservfond		3 092	3 092
<b>Summa bundet eget kapital</b>		<b>4 640</b>	<b>4 500</b>
Överkursfond		1 268 334	1 069 072
Balanserade vinstmedel inklusive periodens resultat		(485 175)	(452 222)
<b>Summa fritt eget kapital</b>		<b>783 159</b>	<b>616 850</b>
<b>Summa eget kapital</b>	5,8	<b>787 799</b>	<b>621 350</b>
<b>Långfristiga skulder</b>			
Avsättning sociala avgifter incitamentsprogram	8	50	-
Övriga långfristiga skulder		175	77
<b>Summa långfristiga skulder</b>		<b>225</b>	<b>77</b>
<b>Kortfristiga skulder</b>			
Leverantörsskulder	6	24 362	22 628
Övriga kortfristiga skulder		1 332	904
Upplupna kostnader och förutbetalda intäkter	6	24 531	6 674
<b>Summa kortfristiga skulder</b>		<b>50 225</b>	<b>30 206</b>
<b>Summa eget kapital och skulder</b>		<b>838 249</b>	<b>651 633</b>

## Noter

### Not 1 Allmän information

Denna rapport avser det svenska moderbolaget Calliditas Therapeutics AB (publ), organisationsnummer 556659–9766 samt dess dotterföretag. Koncernens väsentliga verksamheter utförs inom moderbolaget.

Moderbolaget är ett aktiebolag registrerat i Sverige och med säte i Stockholm. Huvudkontoret ligger på Kungsbron 1, Stockholm. Calliditas Therapeutics AB är noterat på Nasdaq Stockholm i Mid Cap segmentet med kortnamn CALTX.

Bokslutskommunikén för perioden januari - december 2019 har godkänts för publicering den 14 februari 2020 enligt styrelsebeslut.

Denna rapport kan innehålla framåtblickande information. Verkligt utfall kan avvika från vad som har angetts. Interna faktorer som framgångsrik förvaltning av forskningsprojekt och immateriella rättigheter kan påverka framtida resultat. Det finns också externa förhållanden, till exempel det ekonomiska klimatet, politiska förändringar och konkurrerande forskningsprojekt som kan påverka Calliditas resultat.

### Not 2 Redovisningsprinciper

Koncernens delårsrapport har upprättats i enlighet med IAS 34 Delårsrapportering. Moderbolaget tillämpar Rådet för finansiell rapporterings rekommendation RFR 2, Redovisning för juridiska personer. Ingen av de nya eller ändrade standarder och tolkningar som trädde i kraft den 1 januari 2019 har haft någon väsentlig inverkan på bolagets finansiella rapportering, annat än vad som anges nedan. Relevanta redovisningsprinciper finns på sidorna 34–36 i årsredovisningen för 2018.

ESMA:s (European Securities and Markets Authority) riktlinjer om alternativa nyckeltal tillämpas och det innebär upplysningskrav avseende finansiella mått som inte är definierade enligt IFRS. För nyckeltal ej definierade enligt IFRS, se avsnittet Definitioner och avstämning av alternativa nyckeltal.

### Ändring av redovisningsprincip

Calliditas har från och med 1 januari 2019 övergått till att presentera kostnader i resultaträkningen utifrån funktion istället för utifrån kostnadslag. Syftet med förändringen är att ge mer relevant information om koncernens och moderbolagets finansiella resultat, då en funktionsindeldad presentation bättre speglar praxis i den bransch som företaget verkar inom. Förändringen utgör ett frivilligt byte av redovisningsprincip, och tillämpas med full retroaktivitet. Nedan framgår effekterna av förändringen på föregående perioders resultaträkningar:

	Innan justering	Justering	Efter justering
<b>Koncern, okt-dec 2018</b>			
Forsknings- och utvecklingskostnader	-	(34 172)	(34 172)
Administrations- och försäljningskostnader	-	(8 896)	(8 896)
Övriga rörelseintäkter	39	(39)	-
Övriga rörelsekostnader	-	(1 677)	(1 677)
Övriga externa kostnader	(37 713)	37 713	-
Personalkostnader	(7 058)	7 058	-
Avskrivningar	(13)	13	-
<b>Summa rörelsekostnader</b>	<b>(44 745)</b>	<b>-</b>	<b>(44 745)</b>

	Innan justering	Justering	Efter justering
<b>Koncern, jan-dec 2018</b>			
Forsknings- och utvecklingskostnader	-	(99 260)	(99 260)
Administrations- och försäljningskostnader	-	(31 132)	(31 132)
Övriga rörelseintäkter	715	(715)	-
Övriga rörelsekostnader	-	(2 090)	(2 090)
Övriga externa kostnader	(114 056)	114 056	-
Personalkostnader	(19 090)	19 090	-
Avskrivningar	(51)	51	-
<b>Summa rörelsekostnader</b>	<b>(132 482)</b>	<b>-</b>	<b>(132 482)</b>
<b>Moderbolaget, okt-dec 2018</b>			
Forsknings- och utvecklingskostnader	-	(34 172)	(34 172)
Administrations- och försäljningskostnader	-	(8 897)	(8 897)
Övriga rörelseintäkter	39	(39)	-
Övriga rörelsekostnader	-	(1 677)	(1 677)
Övriga externa kostnader	(37 518)	37 518	-
Personalkostnader	(7 254)	7 254	-
Avskrivningar	(13)	13	-
<b>Summa rörelsekostnader</b>	<b>(44 746)</b>	<b>-</b>	<b>(44 746)</b>
<b>Moderbolaget, jan-dec 2018</b>			
Forsknings- och utvecklingskostnader	-	(99 260)	(99 260)
Administrations- och försäljningskostnader	-	(31 000)	(31 000)
Övriga rörelseintäkter	715	(715)	-
Övriga rörelsekostnader	-	(2 090)	(2 090)
Övriga externa kostnader	(113 927)	113 927	-
Personalkostnader	(19 087)	19 087	-
Avskrivningar	(51)	51	-
<b>Summa rörelsekostnader</b>	<b>(132 350)</b>	<b>-</b>	<b>(132 350)</b>

Förändringen har inte haft någon effekt på koncernens eller moderbolagets finansiella ställning, kassaflöden, eller resultat per aktie, för någon av perioderna.

### IFRS 16 Leasing

IFRS 16 tillämpas av koncernen från och med 1 januari 2019. IFRS 16 ersätter IAS 17, och enligt den nya standarden ska leasetagare redovisa åtagandet att betala leasingavgifter som en leasingskuld i balansräkningen. Rätten att nyttja den underliggande tillgången under leasingperioden redovisas som en tillgång. Avskrivning på tillgången redovisas i resultatet liksom en ränta på leasingskulden. Erlagda leasingavgifter redovisas dels som betalning av ränta, dels som amortering av leasingskulden. Standarden ger möjlighet att undanta leasingavtal med en leaseperiod understigande 12 månader (korttidsleasingavtal) och leasingavtal avseende tillgångar som har ett lågt värde.

Standarden medför att merparten av befintliga hyresavtal redovisas som tillgångar och skulder i balansräkningen. Detta medför att kostnaden för dessa redovisas uppdelat i räntekostnader och avskrivningar. Calliditas tillämpar den förenklade övergångsmetoden, vilket innebär att jämförandesiffror i tidigare perioder inte presenteras. Övergången till IFRS 16 medförde för

koncernen att nyttjanderättstillgångar och leasingskulder om 1 819 Tkr redovisades per den 1 januari 2019. Övergången till IFRS 16 medförde även att rörelseresultatet för koncernen för helåret 2019 förbättrades med 196 Tkr, och att resultatet för samma period försämrades med 111 Tkr, jämfört med om motsvarande redovisningsprinciper från föregående år hade tillämpats.

*Avstämning operationella leasingåtaganden (Tkr)*

<b>Åtaganden för operationella leasingavtal 31 december 2018</b>	<b>1 983</b>
Diskonterings effekter	(164)
<b>Redovisade leasingskulder per 1 januari 2019</b>	<b>1 819</b>

<i>Leasingavtal (Tkr)</i>	<b>Nyttjanderättstillgångar</b>	<b>Leasingskulder</b>
<b>Ingående balans 1 januari 2019</b>	<b>1 819</b>	<b>1 819</b>
Tillkommande avtal	7 527	7 527
Omvärdering av avtal	-1 819	-1 624
Avskrivningar	-1 568	-
Amorteringar	-	-1 652
<b>Utgående balans 31 december 2019</b>	<b>5 959</b>	<b>6 070</b>

Under perioden har en omvärdering av avtal skett, då hyresavtalet frånträdde i förtid. Tillkommande avtal avser hyresavtal för kontor med avtalstid till maj 2022. Hyresavtalet kan förlängas med tre år om inte någon av parterna säger upp hyresavtalet minst nio månader innan. Calliditas kan inte med rimlig säkerhet avgöra om förlängning kommer att ske med tanke på bolagets utveckling, och har därför ej räknat med utnyttjande efter maj 2022.

Nyttjanderättstillgångar redovisas inom raden materiella anläggningstillgångar, långfristig del av leasingskulder redovisas inom raden övriga långfristiga skulder och kortfristig del av leasingkulder redovisas inom raden övriga kortfristiga skulder i koncernens balansräkning. I moderföretaget tillämpas undantaget i RFR 2 beträffande leasingavtal. Det innebär att moderföretagets principer för redovisning av leasingavtal är oförändrade.

### **Not 3 Risker och osäkerhetsfaktorer i koncernen och moderbolaget**

#### **Verksamhetsrisker**

Forskning och läkemedelsutveckling fram till godkänd registrering omfattas av väsentliga risker och är en kapitalintensiv process. Majoriteten av alla påbörjade projekt erhåller aldrig marknadsregistrering på grund av tekniska risker, såsom risk för otillräcklig effekt, allvarliga biverkningar eller tillverkningsproblem. Konkurrerande läkemedel kan ta marknadsandelar eller komma ut på marknaden snabbare, eller om konkurrerande forskningsprojekt uppnår en bättre produktprofil kan det framtida värdet på produktportföljen bli lägre än väntat. Verksamheten kan också påverkas negativt av regulatoriska beslut som godkännanden och prisändringar.

#### **Finansiell riskhantering**

Calliditas finansiella policy som styr hanteringen av finansiella risker har utformats av styrelsen och utgör riktlinjer och regler för bemyndigade risker och begränsningar för finansiella aktiviteter.

Bolaget är främst exponerat för valutarisker, eftersom utvecklingskostnaderna för Nefecon huvudsakligen betalas i USD och EUR.

När det gäller koncernens och moderbolagets finansiella riskhantering är riskerna i stort sett oförändrade jämfört med beskrivningen i årsredovisningen för 2018.

För utförligare information av verksamhetsrisker och finansiell riskhantering se sidan 28 i årsredovisning 2018 samt riskbeskrivning på s.12–20, i prospektet som upprättades i samband med notering på Nasdaq Stockholm i juni 2018.

#### Not 4 Intäkter

Redovisning av intäkter sker när en utlovad vara eller tjänst överförs till motparten, vilket kan ske över tid eller vid en tidpunkt. Intäkterna utgörs av det belopp som koncernen/moderbolaget förväntar sig erhålla som ersättning för överförda varor eller tjänster.

Koncernens och moderbolagets intäkter bestod under perioden av intäkter för utlicensiering av Nefecon inom ramarna för avtalet med Everest Medicines om utlicensiering av Nefecon till Kina.

Intäkter för utlicensiering redovisas vid en tidpunkt, som infaller när kontrollen över den immateriella tillgången överförs till motparten, vilket var i samband med att avtalet med Everest Medicines signerades. Rörliga ersättningar (t.ex. sådan som är hänförlig till framtida regulatoriska milstolpar) redovisas när det inte längre föreligger någon väsentlig osäkerhet kring om dessa kommer utfalla. Ersättning hänförlig till försäljningsbaserade milstolpar och royalties redovisas inte förrän den försäljning som medför rätt till att försäljningsbaserade milstolpar eller royalties sker. Intäkter hänförliga till tillhandahållande av läkemedel redovisas vid en tidpunkt, som infaller när kontrollen över varorna övergår till motparten.

Koncernen och moderbolaget har identifierat två prestationsåtaganden inom avtalet: 1) Utlicensiering av läkemedelskandidaten Nefecon i befintligt skick vid avtalets signering och 2) Tillhandahållande av läkemedel för utförande av kliniska studier. Den andel av transaktionsbeloppet som är hänförlig till tillhandahållandet av läkemedel har ej intäktsförts och har beräknats genom att ett pris har beräknats utifrån anskaffningskostnaden för varorna, med ett marknadsmässigt marginalpåslag. Andelen som är hänförlig till utlicensiering har beräknats som en residual av det återstående transaktionspriset efter avdrag av övriga prestationsåtaganden, eftersom läkemedlet ännu inte är godkänt av regulatoriska myndigheter för försäljning och ej är prissatt.

En uppdelning av koncernens intäkter ser ut som följer:

	okt-dec		jan-dec	
(Tkr)	2019	2018	2019	2018
<i>Per intäktsslag</i>				
Utlicensiering	46 586	-	184 829	-
<b>Nettoomsättning</b>	<b>46 586</b>	<b>-</b>	<b>184 829</b>	<b>-</b>
<i>Per geografiskt område</i>				
Asien	46 586	-	184 829	-
<b>Nettoomsättning</b>	<b>46 586</b>	<b>-</b>	<b>184 829</b>	<b>-</b>

#### Not 5 Transaktioner med närstående

Under redovisningsperioden har inga väsentliga närståendetransaktioner skett. För incitamentsprogram se not 8.

#### Not 6 Finansiella instrument

Calliditas finansiella tillgångar och skulder består av likvida medel, långfristiga fordringar, övriga kortfristiga fordringar, upplupna kostnader och leverantörsskulder. Bolaget har finansiella tillgångar redovisade till verkligt värde avseende valutaoptioner. Dessa är upptagna till ett värde om 399 Tkr per 31 december, och har värderats utifrån noterade priser på aktiva marknader för identiska tillgångar och skulder. Övriga finansiella tillgångar och skulder har värderats utifrån

upplupet anskaffningsvärde. Det verkliga värdet på alla finansiella instrument överensstämmer i allt väsentligt med deras redovisade värden.

## Not 7 Eget kapital

(Tkr)	okt-dec		jan-dec	
	2019	2018	2019	2018
Antal registrerade aktier vid periodens början	38 707 638	35 202 347	35 202 347	16 673 000
Antal nyemitterade aktier under perioden	-	-	3 505 291	18 529 347
<b>Totala antalet aktier vid periodens slut<sup>1</sup></b>	<b>38 707 638</b>	<b>35 202 347</b>	<b>38 707 638</b>	<b>35 202 347</b>
Aktiekapital vid periodens slut	1 548	1 408	1 548	1 408
Eget kapital vid periodens slut	788 071	618 175	788 071	618 175
Resultat per aktie före och efter utspädning, SEK	(0,60)	(1,26)	(0,88)	(5,09)
Genomsnittligt antal aktier under perioden <sup>1</sup>	38 707 638	35 202 347	36 998 208	25 948 037

<sup>1</sup> Vid beräkning av resultat per aktie efter utspädning justeras det vägda genomsnittliga med antalet utestående stamaktier för utspädningseffekten av samtliga potentiella stamaktier. Dessa potentiella stamaktier är hänförliga till totalt 2 575 586 optioner utestående i optionsprogram 2017, 2018 och 2019. Om periodens resultat är negativt betraktas inte optionerna som utspädande. Ingen utspädningseffekt föreligger för optionsprogrammen eftersom resultatet för perioden är negativt.

I eget kapital per 31 december 2019 ingår reserver för omräkningsdifferenser om -45 (-34) TSEK.

## Not 8 Incitamentsprogram

### Teckningsoptionsprogram 2019/2022

Under 2019 sammanlagt 422 500 teckningsoptioner utfärdats till anställda och konsulter i koncernen. Anledningen är bolagets behov av att rekrytera och behålla nyckelmedarbetare. Teckningsoptionerna i Teckningsoptionsprogram 2019/2022 kan utnyttjas mellan 1 oktober 2022 och 31 december 2022, där varje teckningsoption ger deltagaren rätt att teckna en ny aktie i bolaget till teckningskurs om 74,50 kronor per aktie. Teckningsoptionerna har vid tidpunkten för tilldelningen värderats till marknadsvärde enligt Black & Scholes värderingsmodell.

### Styrelse LTIP 2019

Detta är ett prestationsbaserat långsiktigt incitamentsprogram för vissa styrelseledamöter i Calliditas. Totalt har 57 032 aktierätter tilldelats inom ramen för programmet under 2019. Aktierätterna är föremål för prestationsbaserad intjäning baserat på utvecklingen av Calliditas aktiekurs under perioden från dagen för årsstämman 2019 till och med den 1 juni 2022.

## Summering utestående incitamentsprogram

	Allokerade optioner	Allokerade aktierätter	Totalt allokerade 2019-12-31
<b>Incitamentsprogram</b>			
Teckningsoptionsprogram 2017/2020	1 296 500		1 296 500
Teckningsoptionsprogram 2018/2022	856 586		856 586
Teckningsoptionsprogram 2019/2022	422 500		422 500
Styrelse LTIP 2019		57 032	57 032
<b>Summa utestående 31 december 2019</b>	<b>2 575 586</b>	<b>57 032</b>	<b>2 632 618</b>

### Not 9 Immateriella tillgångar

Calliditas licensierade under 2019 Budenofalk 3 mg oral kapsel från det tyska läkemedelsföretaget Dr Falk Pharma GmbH för utveckling på den amerikanska marknaden. Avtalet omfattar alla indikationer för den amerikanska marknaden, exklusive särindikationer som ej är leverrelaterade. Calliditas betalade 1,5 MEUR i initial betalning för licensen. Därtill tillkommer engångsbetalningar, som utgår om vissa regulatoriska milstolpar uppnås och om potentiell framtida försäljning når vissa förutbestämda milstolpar, om totalt ytterligare 38,5 MEUR, samt royalty på framtida försäljning.

Den initiala betalningen på 1,5 MEUR (16,1 MSEK) har redovisats som en immateriell tillgång enligt IAS 38. Calliditas kommer att inkludera framtida engångsbetalningar i anskaffningskostnaden om och när ett beslut har fattats att vidta de åtgärder som utlöser ytterligare betalning. Detta innebär att endast betalningar som Calliditas har kontroll över om de kommer att inträffa ingår i anskaffningskostnaden för immateriella tillgångar.

Till dess att marknadsgodkännande från FDA har meddelats kommer tillgången att behandlas som om den har obestämbar nyttjandeperiod. Eftersom marknadsgodkännande ännu inte har erhållits aktiveras inga övriga kostnader förrän efter marknadsgodkännande. Fram tills ett marknadsgodkännande av produkten har uppnåtts testas tillgången minst en gång per år, eller en när det finns indikation på att ett nedskrivningsbehov kan finnas, för att fastställa ett potentiellt nedskrivningsbehov.

## Definitioner av nyckeltal och avstämning av alternativa nyckeltal

### Definitioner av nyckeltal

Resultat per aktie före/efter utspädning	Periodens resultat dividerat med genomsnittligt antal aktier under perioden före och efter utspädning. Resultat per aktie efter utspädning beräknas genom att justera det viktade genomsnittliga antalet utestående stamaktier för en uppskattad konvertering av alla potentiella stamaktier som ger upphov till utspädningseffekt.
Aktiekapital vid periodens utgång	Aktiekapital vid respektive periods utgång. Informationen hämtas från balansräkningen.
Summa utestående aktier vid periodens början	Summa utestående aktier vid respektive periods början.

Summa utestående aktier vid periodens utgång	Summa utestående aktier vid respektive periods utgång.
Genomsnittligt antal aktier utestående under perioden	Det genomsnittliga antalet aktier utestående under respektive period.
Eget kapital vid periodens utgång	Eget kapital vid respektive periods utgång. Informationen hämtas från balansräkningen.
Likvida medel vid periodens slut	Likvida medel vid respektive periods slut. Informationen hämtas från balansräkningen.

### Definitioner av alternativa nyckeltal

Alternativa nyckeltal	Definition	Skäl till att nyckeltalen används
Forsknings- och utvecklingskostnader/summa rörelsekostnader, %	De totala kostnaderna hänförliga till forskning och utveckling, dividerat med summa rörelsekostnader.	Nyckeltalet hjälper den som läser de finansiella rapporterna att analysera andelen av bolagets kostnader som är hänförliga till bolagets kärnverksamhet.
Soliditet, %	Soliditeten vid utgången av respektive period beräknas genom att dividera totalt eget kapital med totala tillgångar.	Soliditeten mäter andelen av de totala tillgångarna som finansieras av aktieägarna.

### Avstämning av alternativa nyckeltal

	okt-dec		jan-dec	
	2019	2018	2019	2018
<i>(Tkr)</i>				
<b>Forsknings- och utvecklingskostnader/totala rörelsekostnader, %</b>				
Forsknings- och utvecklingskostnader	(41 709)	(34 172)	(149 826)	(99 260)
Administrations- och försäljningskostnader	(23 790)	(8 896)	(62 882)	(31 132)
Övriga rörelseintäkter	870	-	4 385	-
Övriga rörelsekostnader	-	(1 677)	(4 525)	(2 090)
<b>Summa rörelsekostnader</b>	<b>(64 629)</b>	<b>(44 745)</b>	<b>(212 848)</b>	<b>(132 482)</b>
Kostnader relaterade till FoU / summa rörelsekostnader, %	65%	76%	70%	75%
<b>Soliditet vid periodens slut</b>				
Summa eget kapital vid periodens slut	788 071	618 175	788 071	618 175
Summa tillgångar vid periodens slut	845 200	648 417	845 200	648 417
<b>Soliditet vid periodens slut %</b>	<b>93%</b>	<b>95%</b>	<b>93%</b>	<b>95%</b>

### Årsstämma 2020

Calliditas Therapeutics årsstämma kommer hållas torsdagen den 14 maj, kl 16:30 i Hotel Freys lokaler, Bryggaregatan 12, Stockholm.

I enlighet med av styrelsen antagen utdelningspolicy föreslås ingen utdelning för räkenskapsåret 2019.



## Finansiell kalender

Årsredovisning publiceras	vecka 14 2020
Delårsrapport för perioden 1 januari – 31 mars 2020	14 maj 2020
Delårsrapport för perioden 1 januari – 30 juni 2020	13 augusti 2020
Delårsrapport för perioden 1 januari – 30 september 2020	12 november 2020
Bokslutskommuniké för perioden 1 januari – 31 december 2020	18 februari 2021



### Kontakt:

Renée Aguiar-Lucander  
*Verkställande direktör*

Calliditas Therapeutics AB  
Kungsbron 1, SE-111 22 Stockholm  
Telefon: +46 (0)8 411 3005  
Mobil: +46 (0)72 252 1006  
E-post: renee.lucander@calliditas.com

[www.calliditas.com](http://www.calliditas.com)

Denna rapport har upprättats i ett svenskt original och en version översatt till engelska. Vid skillnader mellan de två ska den svenska versionen gälla.