

Calliditas lämnar in ansökan till FDA för behandling med Nefecon för patienter med primär IgA-nefropati

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas") tillkännagav idag att bolaget har lämnat in en ansökan (*New Drug Application, NDA*) till den amerikanska läkemedelsmyndigheten Food and Drug Administration (FDA) för Nefecon, en ny oral formulering inriktad på nedreglering av IgA1 för behandling av primär IgA-nefropati (IgAN). Calliditas söker accelererat godkännande med en ansökan enligt kapitel H, avsnitt 505(b)(2).

"Detta är en viktig milstolpe i företagets utveckling och vi ser fram emot vår interaktion med FDA. Det här är första gången som ett läkemedel som är specifikt utformat för att behandla IgAN lämnas in för godkännande till FDA, och jag tror att vi levererar ett mycket robust datapaket baserat på det framgångsrika resultatet från vår registreringsgrundande fas 3-studie och vår stora fas 2b-studie, som uppfyllde både primära och viktiga sekundära effektmått. Calliditas har länge varit pionjärer för en behandling av IgAN, som baseras på precision och sjukdomsmodifiering genom att fokusera på sjukdomens ursprung, med en förhoppning om att hjälpa tusentals patienter, så detta är verkligen en speciell dag för oss," säger VD Renée Aguiar-Lucander.

NDA-ansökan baseras på positiva data från del A i den registreringsgrundande fas 3-studien NeflgArd, en randomiserad, dubbelblind och placebokontrollerad internationell multicenterstudie utformad för att utvärdera effekten och säkerheten av Nefecon jämfört med placebo hos 200 vuxna patienter med IgAN. Som tidigare rapporterats uppnådde studien sitt primära effektmått för reduktion av protein i urinen jämfört med placebo, samt visade stabilisering av eGFR vid 9 månader. NeflgArd-studien visade också att Nefecon tolererades väl med en säkerhetsprofil överensstämmande med fas 2b resultaten. Inlämningen inkluderar också kliniska data från fas 2-studien NEFIGAN, som också uppnådde samma primära och sekundära effektmått som NeflgArd-studien. Calliditas är det enda bolaget som nått positiva resultat i en randomiserad, dubbelblind och placebokontrollerad klinisk fas 2b och fas 3-studie i IgAN.

Calliditas har ansökt om accelererat godkännande, som gör det möjligt att godkänna läkemedel som riktar sig mot allvarliga tillstånd, där det finns ett stort medicinskt behov, baserat på en surrogatmarkör. Surrogatmarkören i den registreringsgrundande fas 3-studien NeflgArd är minskning av proteinuri, vilket stöds av ett statistiskt ramverk baserat på en meta-analys av kliniska studier relaterade till interventioner i patienter med IgAN, som är uppdaterad av Thompson A et al, publicerad 2019¹. En bekräftande studie utformad för att tillhandahålla data om långvarig njurfördel är fullrekryterad och förväntas läsas ut i början av 2023.

Om Nefecon godkänns skulle det bli den första behandlingen som särskilt utformats och godkänts för behandling av IgAN, med potential att vara sjukdomsmodifierande. Med förbehåll för godkännande av FDA avser Calliditas att själv kommersialisera Nefecon mot IgAN i USA.

¹ Clin J Am Soc Nephrol. 2019;14:469-81

För mer information, vänligen kontakta:

Mikael Widell, Investerarrelationer Calliditas

E-post: mikael.widell@calliditas.com

Telefon: 0703 11 99 60

Informationen i detta pressmeddelande är sådan som Calliditas är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 15 mars 2021 kl. 07:30.

Om Calliditas Therapeutics

Calliditas Therapeutics är ett specialistläkemedelsbolag med säte i Stockholm som fokuserar på identifiering, utveckling och kommersialisering av nya behandlingar för sällsynta sjukdomar, med initialt fokus på njur- och leversjukdomar med betydande medicinska behov som inte tillgodosetts. Calliditas främsta produktkandidat, Nefecon, är en egenägd, ny oral formulering av budesonid, ett etablerat, mycket potent lokalt immunsuppressivt läkemedel, för behandling av den autoimmuna njursjukdomen IgA-nefropati, eller IgAN, för vilken det finns ett stort medicinskt behov som inte tillgodosetts och för vilken det inte finns några godkända behandlingar. Calliditas har nyligen rapporterat ut positiv data relaterat till en global fas 3-studie för IgAN, baserat på vilken, om den godkänns, Calliditas har för avsikt att kommersialisera Nefecon i USA. Calliditas planerar även att utföra kliniska studier med NOX-hämmare i primär gallkolangit (PBC) och huvud och hals cancer under andra halvan av 2021. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT).

Om NefIgArd studien

Den globala kliniska fas 3-studien NefIgArd, som undersökte effekten av Nefecon kontra placebo hos patienter med primär IgA-nefropati (IgAN), består av två delar. Del A, som är grunden för potentiella myndighetsansökningar och godkännanden, tillhandahåller data om Nefecons effektivitet och säkerhet. Den första patienten i NefIgArd-studien randomiserades av Calliditas i november 2018 och i december 2019 tillkännagav Calliditas fullständig rekrytering av del A, på cirka 146 platser i 19 länder. Calliditas läste ut topline-resultat för del A i november 2020. Studien nådde sitt primära effektmått och visade en statistiskt signifikant minskning av kreatininförhållandet i urin, UPCR eller proteinuri, efter 9 månaders behandling med 16 mg Nefecon jämfört med placebo, med signifikant fortsatt förbättring efter 12 månader. Analysen av det primära effektmåttet visade i genomsnitt 31% reduktion i 16 mg armen jämfört med baslinjen, och placeboarmen visade i genomsnitt 5% reduktion jämfört med baslinjen, vilket ger en genomsnittlig behandlingseffekt på 27% vid 9 månader ($p=0,0005$) av 16 mg jämfört med placebo. Studien mötte också det viktigaste sekundära effektmåttet som visade en statistiskt signifikant skillnad i uppskattad glomerulär filtreringshastighet eller eGFR efter 9 månaders behandling med Nefecon jämfört med placebo. Detta viktiga sekundära effektmåttet, eGFR, visade en behandlingsnytta på 7% jämfört med placebo vid 9 månader, vilket återspeglade en stabilisering i behandlings armen jämfört med en 7% minskning av eGFR i placeboarmen ($p=0,0029$). Detta återspeglade en absolut reduktion med 4,04 ml/min /1,73 m² i placebogruppen under 9 månader jämfört med en reduktion med endast 0,17 ml/min /1,73 m² i behandlingsgruppen. Resultaten indikerar att Nefecon generellt tolererades väl och var i överensstämmelse med säkerhetsprofilen i fas 2b studien samt med den etablerade säkerhetsprofilen för Budesonid.

Del B är utformad som en bekräftande observationsstudie efter marknadsgodkännande för att konfirmera långsiktig njurbeskyddande effekt och bedöma skillnaden i njurfunktion mellan behandlade och placebopatienter mätt med eGFR under en tvåårsperiod från början dosering av varje patient. Den totala 360-patientpopulationen i fas 3-studien inkluderar ytterligare 160 patienter som registrerats utöver de 200 patienterna från del A. Studien rekryterades klart i januari 2021 och data planeras att läsas ut i början av 2023, efter att alla patienter har deltagit 2 år i studien.

Om Nefecon

Nefecon är en patenterad oral formulering av en potent och välkänd aktiv substans - budesonid - med riktad frisättning. Formuleringen är designad att leverera läkemedlet till Peyers plackregionen i den nedre tunntarmen, där sjukdomen har sitt ursprung enligt de dominerande modellerna för dess patogenes. Nefecon härrör från TARGIT-tekniken, som gör det möjligt för substansen att passera genom magen och tarmen utan att absorberas och frisättas på ett pulslignande sätt när den når den nedre tunntarmen. Kombinationen av dos och optimerad frisättning krävs för att vara effektiv hos patienter med IgA-nefropati, vilket visats i en stor fas 2b-studie som Calliditas har genomfört. Förutom dess potenta lokala effekt är en annan fördel med att använda denna aktiva substans att den har mycket låg biotillgänglighet, dvs. cirka 90% av den inaktiveras i levern innan den når den systemiska cirkulationen. Detta innebär att en hög koncentration kan appliceras lokalt där det behövs men med endast mycket begränsad systemisk exponering och biverkningar.

Framåtblickande uttalanden

Detta pressmeddelande innehåller framåtriktade uttalanden såsom de definieras i den vid var tid gällande amerikanska Private Securities Litigation Reform Act från 1995. Detta inkluderar, men är inte begränsat till, uttalanden avseende Calliditas strategi, affärsplaner, regulatoriska ansökningar och fokus. Orden "kan", "kommer", "skulle kunna", "borde", "förvänta", "planera", "avser", "har för avsikt", "tror", "beräknar", "förutspår", "förutser", "potentiell", "fortsätta", "siktas på" och liknande uttryck syftar till att identifiera framåtblickande uttalanden, dock att sådana framåtblickande uttalanden inte alltid innehåller sådana identifierande ord. Framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande baseras på ledningens nuvarande förväntningar och antaganden och är föremål för ett antal risker, osäkerhetsfaktorer och viktiga faktorer som skulle kunna resultera i faktiska händelser eller resultat som väsentligen skiljer sig från sådana som följer explicit eller implicit av framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande, inklusive, men inte begränsat till, Calliditas verksamhet, potentialen för att FDA skall godkänna ansökan och framgången för läkemedelsansökan för Nefecon, kliniska studier, leverantörskedja, strategi, mål och förväntade tidplaner, konkurrens från andra biofarmabolag och andra risker identifierade i avsnittet "Riskfaktorer" i Calliditas rapporter som inlämnats till amerikanska Securities and Exchange Commission. Calliditas uppmanar er att inte lägga otillbörlig tillit till några framåtblickande uttalanden, som gäller endast per dagen de är lämnade. Calliditas avsägar sig varje skyldighet att offentligt uppdatera eller revidera några framåtblickande uttalanden, oavsett som en följd av ny information, framtida händelser eller annat. Framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande avser Calliditas syn endast per dagens datum och ska inte betraktas som Calliditas syn per någon senare tidpunkt.