

Calliditas Therapeutics tillkännager att fullständiga resultat från fas 3-studien NeflgArd har publicerats i The Lancet

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas") meddelade i dag att den vetenskapliga tidskriften *The Lancet* har publicerat fullständiga data från fas 3-studien NeflgArd med Nefecon® (TARPEYO®/Kinpeygo® (budesonid) kapsel med fördröjd frisättning) hos vuxna med primär IgA-nefropati (IgAN). Fas 3-studien uppfyllde det primära effektmåttet, uppskattad glomerulär filtrationshastighet (eGFR), där Nefecon visade en betydande njurskyddande effekt jämfört med placebo.

– IgAN är en allvarlig sjukdom som leder till njursvikt hos mer än 50 procent av patienterna. De fullständiga resultaten från NeflgArd-studien visar Nefecons förmåga att bromsa försämringen av njurfunktionen och därmed bromsa sjukdomsutvecklingen och fördröja behovet av dialys och njurtransplantation. Resultaten stödjer även tarmimmunsystemets nyckelroll i IgANs patogenes och den differentierade effekten av Nefecon som behandlar sjukdomen vid dess ursprung, säger Jonathan M. Barratt, M.D., Mayer professor i njurmedicin, University of Leicester.

Analysen som publicerades i *The Lancet* visar att Nefecon uppnådde en påtaglig, statistiskt signifikant och kliniskt relevant fördel jämfört med placebo mätt i eGFR under en tvåårsperiod med nio månaders behandling med Nefecon och 15 månaders uppföljning utan behandling. Efter tvåårsperioden minskade eGFR med 6,11 ml/min/1,73 m² i Nefecon-armen jämfört med en minskning på 12,0 ml/min/1,73 m² i placebo-armen, vilket motsvarar en skillnad i tvåårig total lutning i eGFR på 2,95 ml/min/1,73m² per år (p <0,0001). Den minskning av proteinuri (UPCR) som observerades med Nefecon-behandlingen var varaktig, vilket speglar en långvarig behandlingseffekt under den 15 månader långa uppföljningsperioden utan behandling. De patienter som behandlats med Nefecon bibehöll en proteinuriminskning på mer än 30 procent efter slutet av den nio månader långa behandlingen, under hela uppföljningsperioden, och en minskning av UPCR på över 50 procent observerades efter tolv månader.

Nefecon tolererades i allmänhet väl. Majoriteten av de behandlingsrelaterade biverkningarna (*treatment emergent adverse events*, TEAE) var milda eller måttliga, vilket ledde till att behandlingen med studieläkemedlet avbröts hos mindre än 10 procent av de behandlade patienterna. Objektiva mått på medelvikt och blodtryck visade förändringar som inte var kliniskt relevanta.

– Data visade stödjande tvååriga totala lutningsanalyser som inte bara var statistiskt signifikanta utan även var kliniskt meningsfulla och visade på en varaktig behandlingsfördel. Fördelen mätt i eGFR observerades i hela studiepopulationen, oavsett urinprotein/kreatininkvotens (UPCR) baslinje. Den ihållande minskningen av proteinuri och den skyddande effekten på njurfunktionen stödjer Nefecons sjukdomsmodifierande effekt. Dessa robusta resultat innebär nytt hopp för patienterna och förstärker Nefecons potential att göra en meningsfull skillnad i livet för dem som drabbats av denna svåra sjukdom, säger Richard Lafayette, M.D., F.A.C.P., Stanford Healthcare och huvudförfattare till publikationen.

– Vi är oerhört glada över att data från fas 3-studien NeflgArd publicerats i *The Lancet*, vilket lyfter fram dessa viktiga resultat för IgAN-patienter. Den fastställda långsiktiga fördelen med avseende på eGFR återspeglar Nefecons förmåga att bromsa försämringen av njurfunktionerna och reflekterar fördelen av att behandla sjukdomen där den har sitt ursprung, och därmed ge en möjlighet för en differentierad och sjukdomsmodifierande behandling, säger Renée Aguiar-Lucander, verkställande direktör på Calliditas.

Nefecon är för närvarande godkänt av den amerikanska läkemedelsmyndigheten, Food and Drug Administration (FDA), efter ett accelererat förfarande för att minska proteinuri hos vuxna med primär IgAN med risk för snabb sjukdomsprogression, vanligtvis ett UPCr $\geq 1,5$ g/g. I juni 2023 skickade Calliditas in en kompletterande ansökan till FDA (*supplemental new drug application, sNDA*) om fullständigt godkännande. Den kompletterande ansökan baserades på fullständiga data från NeflgArd-studien. Calliditas bistår även sin partner STADA vid ansökan om fullständigt godkännande hos Europeiska kommissionen och den brittiska läkemedelsmyndigheten, Medicines & Healthcare products Regulatory Agency, under andra halvåret 2023.

Den vetenskapligt granskade artikeln finns [här](#).

För ytterligare information, kontakta:

Åsa Hillsten, Head of IR, Calliditas

Tel.: +46 76 403 35 43, e-post: asa.hillsten@calliditas.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 15 augusti 2023 kl. 8:00.

Om Calliditas

Calliditas Therapeutics är ett kommersiellt biofarmabolag med säte i Stockholm som fokuserar på identifiering, utveckling och kommersialisering av nya behandlingar för sällsynta sjukdomar, med initialt fokus på njur- och lever-sjukdomar med betydande medicinska behov som inte tillgodosätts. Calliditas främsta läkemedelsprodukt, som utvecklats under namnet Nefecon, har fått ett accelererat godkännande av FDA under namnet TARPEYO® och ett villkorat godkännande av Europeiska Kommissionen under namnet Kinpeygo®. Kinpeygo kommersialiseras i EU:s medlemsstater av Calliditas partner, STADA Arzneimittel AG. Calliditas driver även en Fas 2b/3-studie med NOX-hämmare i primär gallkolangit (primary biliary cholangitis, PBC) och en klinisk Fas 2 proof-of-concept-studie i huvud- och hals-cancer. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT). Besök www.calliditas.com för ytterligare information.

Framåtriktade uttalanden

Detta pressmeddelande innehåller framåtriktade uttalanden som avser Bolagets avsikter, bedömningar eller förväntningar avseende Bolagets framtida resultat, finansiella ställning, likviditet, utveckling, utsikter, förväntad tillväxt, strategier och möjligheter samt de marknader inom vilka Bolaget är verksamt. Framåtriktade uttalanden är uttalanden som inte avser historiska fakta och kan identifieras av att de innehåller uttryck som "anser", "förväntar", "förutser", "avser", "uppskattar", "kommer", "kan", "förutsätter", "bör" "skulle kunna" och, i varje fall, negationer därav, eller liknande uttryck. De framåtriktade uttalandena i detta pressmeddelande är baserade på olika antaganden, vilka i flera fall baseras på ytterligare antaganden. Även om Bolaget anser att de antaganden som reflekteras i dessa framåtriktade uttalanden är rimliga, kan det inte garanteras att de kommer att infalla eller att de är korrekta. Då dessa antaganden baseras på antaganden eller uppskattningar och är föremål för risker och osäkerheter kan det faktiska resultatet eller utfallet, av många olika anledningar, komma att avvika väsentligt från vad som framgår av de framåtriktade uttalandena. Sådana risker, osäkerheter, eventualiteter och andra väsentliga faktorer kan medföra att den faktiska händelseutvecklingen avviker väsentligt från de förväntningar som uttryckligen eller underförstått anges i detta pressmeddelande genom de framåtriktade uttalandena. Bolaget garanterar inte att de antaganden som ligger till grund för de framåtriktade uttalandena i detta pressmeddelande är korrekta och varje läsare av pressmeddelandet bör inte opåkallat förlita sig på de framåtriktade uttalandena i detta pressmeddelande. Den information, de uppfattningar och framåtriktade uttalanden som uttryckligen eller underförstått framgår här lämnas endast per dagen för detta pressmeddelande och kan komma att förändras. Varken Bolaget eller någon annan åtar sig att se över, uppdatera, bekräfta eller offentligt meddela någon revidering av något framåtriktat uttalande för att återspegla händelser som inträffar eller omständigheter som förekommer avseende innehållet i detta pressmeddelande, såtillvida det inte krävs enligt lag eller Nasdaq Stockholms regelverk för emittenter.