

Calliditas Therapeutics meddelar att FDA har gett fullständigt godkännande av TARPEYO®, den enda FDA-godkända behandlingen av IgA-nefropati som signifikant minskar förlusten av njurfunktionen

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas"), meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten, U.S. Food and Drug Administration (FDA), har godkänt TARPEYO (budesonid) kapslar med fördröjd frisättning för att minska förlusten av njurfunktionen hos vuxna med primär immunglobulin A-nefropati (IgAN) med risk för sjukdomsprogression. TARPEYO har ett tidigare godkännande från ett accelererat förfarande i december 2021 baserat på biomarkören proteinuri. TARPEYO är nu den första fullständigt FDA-godkända behandlingen för IgAN baserat på ett mått för njurfunktion, vilket utgör en betydande milstolpe för Calliditas.

- TARPEYO (som under prövningen gick under namnet NEFECON) är den enda FDA-godkända behandlingen för IgAN som signifikant minskar förlusten av njurfunktionen.
- TARPEYO har nu godkänts med en bekräftad och statistiskt signifikant fördel jämfört med placebo ($p < 0,0001$) med avseende på uppskattad glomerulär filtrationshastighet (eGFR) under en tvåårsperiod som bestod av nio månaders behandling med TARPEYO plus en optimerad renin-angiotensin-blockerare (RAS-blockerare) eller en optimerad behandling med RAS-blockerare och placebo, därefter 15 månaders uppföljning utan prövningsläkemedlet.
- Efter två år hade eGFR i TARPEYO-gruppen minskat med 6,11 mL/min/1,73 m² jämfört med en minskning med 12,0 mL/min/1,73 m² i placebogrupperna ($p < 0,0001$), vilket motsvarar en minskad försämring av njurfunktionen med 50 procent i de TARPEYO-behandlade patienterna jämfört med de placebobehandlade patienterna under tvåårsperioden.
- TARPEYO är en B-cellsimmunomodulator som utformats för att rikta in sig på en av sjukdomens källor och minskar produktionen av de patogena galaktosfattiga IgA1-antikroppar som orsakar IgAN.¹⁻³
- Den betydande proteinurireduktion som uppnåddes med TARPEYO plus RAS-blockerare var varaktig och upprätthölls under hela femtonmånadersperioden utan prövningsläkemedlet.
- FDA:s godkännande gäller vuxna med primär IgAN med risk för sjukdomsprogression, oavsett proteinuri nivå.

– En varaktig minskning av proteinuri och en kliniskt signifikant minskning av eGFR-förlusten, vilket kan hjälpa till att skapa ett långsammare förlopp mot dialys eller transplantation, understryker TARPEYOs potential som ett sjukdomsmodifierande medel vid IgAN. TARPEYO ger läkare och patienter ett effektivt behandlingsalternativ som hjälper till att förbättra sjukdomsresultatet, säger Richard Lafayette, läkare och Fellow of the American College of Physicians, Stanford Healthcare.

Godkännandet baserades på data från bolagets fas 3-studie NefIgArd, en randomiserad, dubbelblindad multicenterstudie som utvärderade effektiviteten och säkerheten för TARPEYO vid doseringen 16 mg dagligen jämfört med placebo mot bakgrund av en optimerad behandling med RAS-blockerare hos vuxna patienter med primär IgAN.

– Vi är oerhört glada över att patienter i USA med risk för sjukdomsprogression nu får tillgång till detta banbrytande behandlingsalternativ som kan hjälpa till att bevara njurfunktionen och därmed positivt påverka sjukdomsförloppet. Denna medicin har specifikt utvecklats för att rikta in sig på en av de underliggande orsakerna till IgAN, och jag skulle vilja uttrycka min tacksamhet till Calliditas team, forskarna som utförde studien samt de patienter och vårdare som möjliggjort denna viktiga milstolpe. Jag är oerhört stolt över teamets orubbliga strävan efter att uppnå målet att förebygga kronisk njursvikt hos patienter med denna svåra och sällsynta sjukdom, säger Renee Aguiar-Lucander, vd på Calliditas.

TARPEYO tolererades i allmänhet väl under den kliniska fas 3-studien NeflgArd. De vanligaste biverkningarna (≥ 5 procent) i studien var perifert ödem, hypertoni, muskelspasmer, akne, huvudvärk, övre luftvägsinfektion, ansiktsödem, viktökning, dyspepsi, dermatit, ledvärk samt en ökning av antalet vita blodkroppar. Se den viktiga säkerhetsinformationen nedan.

– Denna första IgAN-behandling som någonsin fått fullständigt godkännande baserat på njurfunktion ger hopp åt hela IgAN-samhället och innebär ett monumentalt framsteg i kampen mot IgAN. Detta betyder mycket för vår stiftelse, och jag tycker personligen att det känns oerhört givande och bekräftande efter de närmare 20 år som gått sedan grundandet av denna frivilligorganisation som främjar medvetenheten om och forskning om IgAN, säger Bonnie Schneider, styrelseledamot och medgrundare av IgAN Foundation.

TARPEYO säljs endast i USA, via Calliditas specialistapotek Biologics by McKesson. För att börja med TARPEYO måste förskrivarna fylla i ett rekryteringsformulär på TARPEYO Touchpoints[®] som fungerar som recept. Detta rekryteringsformulär kommer att ge patienterna tillgång till alla fördelarna med TARPEYO Touchpoints[®], inklusive finansiella stödprogram som helt eller delvis står för kostnaden, hjälp från vårt team med sjukvårdsrådgivare, apotekare och sjuksköterskor samt bekvämligheten av hemleverans redan nästa dag. På Calliditas anser vi att vårdkostnaden aldrig får utgöra ett hinder för vård. Genom TARPEYO Touchpoints[®] har 97 procent av de patienter som tar TARPEYO betalat mindre än 10 amerikanska dollar per recept, och 88 procent har inte behövt betala någonting alls.

Indikation

TARPEYO är indicerat för att minska förlusten av njurfunktionerna hos vuxna med primär immunglobulin A-nefropati (IgAN) med risk för sjukdomsprogression.

Se den [fullständiga förskrivarinformationen](#) (endast tillgänglig på engelska).

Om TARPEYO

TARPEYO är en beredning med 4 mg budesonid för oralt bruk med fördröjd frisättning som är utformad för att förbli intakt tills den når ileum. Varje kapsel innehåller belagda granulat med budesonid som riktar in sig på slemhinnans B-celler i ileum, inklusive Peyers plack, som ansvarar för produktionen av de galaktosfattiga IgA1-antikroppar (Gd-Ag1) som orsakar IgA-nefropati.¹⁻³

Om NeflgArd-studien

NeflgArd var en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad fas 3-studie i form av en multicenterstudie som utvärderade effektiviteten och säkerheten vid ett dagligt intag av 16 mg TARPEYO jämfört med placebo hos vuxna patienter med primär IgAN (N=364) i tillägg till en optimerad behandling med RAS-hämmare. Patienterna randomiserades 1:1 så att de fick TARPEYO i orala kapslar om 16 mg/dag

eller matchande placebo i nio månader med en efterföljande femtonmånaders observationsperiod utan prövningsläkemedlet.

Det primära effektmåttet var ett tidsviktat eGFR-genomsnitt under två år. Det tidsviktade eGFR-genomsnittet efter två år påvisade en statistiskt signifikant behandlingsfördel med TARPEYO jämfört med placebo (en skillnad på 5,05 mL/min per 1,73 m² [95 procent CI 3,24 till 7,38], p < 0,0001).

TARPEYOs gynnsamma effekt på eGFR sågs vid månad tre (vid den tidigaste utvärderingen) och verkade inte öka i storlek under två år. Vid slutet av år två förelåg en skillnad på 5,9 mL/min/1,73 m² i den genomsnittliga förändringen från baslinjen för eGFR mellan TARPEYO och placebo (95 procent CI: 3,3 till 8,5 mL/min/1,73 m²; p < 0,0001). Den effekt på njurfunktionen som sågs under den nio månader långa behandlingsperioden kvarstod efter att behandlingen avslutats och höll i sig till slutet av studien, men den övergripande effekten på den långsiktiga försämringstakten har inte fastställts.

De vanligaste biverkningarna från TARPEYO (som uppstår hos ≥ 5 procent av patienter som behandlas med TARPEYO och är ≥ 2 procent vanligare än med placebo) var perifert ödem (17 procent), hypertoni (12 procent), muskelspasmer (12 procent), akne (11 procent), huvudvärk (10 procent), övre luftvägsinfektion (8 procent), ansiktsödem (8 procent), viktökning (7 procent), dermatit (6 procent), ledvärk (6 procent), och en ökning av antalet vita blodkroppar (6 procent).

Om primär immunoglobulin A-nefropati

Primär immunoglobulin A-nefropati (IgAN) är en ovanlig progressiv och kronisk autoimmun sjukdom som attackerar njurarna och inträffar när autoantikroppar känner igen galaktosfattiga IgA1-antikroppar och skapar IgA1-immuna komplex som deponeras i njurens glomerulära mesangium.^{2,4} Denna deposition i njuren kan orsaka progressiva leverskador och potentiellt ha ett kliniskt förlopp som slutar med kronisk njursvikt (ESRD). IgAN utvecklas oftast från sena tonåren och i slutet av trettioårsåldern.^{2,5}

För ytterligare information, kontakta:

Åsa Hillsten, Head of IR and Sustainability, Calliditas

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

Denna information är information som Calliditas är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 20 december 2023, kl. 22:15 CET.

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 tillgodosetts.

Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT). Besök 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 häri 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.

1. TARPEYO. Förskrivarinformation. Calliditas Therapeutics AB; 2023.

2. Barratt J, Rovin BH, Cattran D, et al. Why target the gut to treat IgA nephropathy? *Kidney Int Rep.* 2020;5(10):1620-1624. doi:10.1016/j.ekir.2020.08.009

3. Fellström BC, Barratt J, Cook H, et al. Targeted-release budesonide versus placebo in patients with IgA nephropathy (NEFIGAN): a double-blind, randomised, placebo-controlled phase 2b trial. *Lancet.* 2017;389(10084):2117-2127. doi:10.1016/S0140-6736(17)30550-0

4. Barratt J, Feehally J. IgA nephropathy. *J Am Soc Nephrol.* 2005;16(7):2088-2097. <https://doi.org/10.1681/ASN.2005020134>

5. Jarrick S, Lundberg S, Welander A, et al. Mortality in IgA nephropathy: a nationwide population-based cohort study. *J Am Soc Nephrol.* 2019;30(5):866-876. <https://doi.org/10.1681/ASN.2018101017>