

Calliditas presenterar att primärt effektmått framgångsrikt uppnått i NeflgArd Fas 3-studien som utvärderar Nefecon® i IgA-nefropati

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas") presenterar idag positiva topline resultat från den globala, randomiserade, dubbel-blindade och placebokontrollerade fas 3-studien NeflgArd, som undersökt effekten av Nefecon (TARPEYO®/Kinpeygo®) jämfört med placebo hos patienter med primär IgA-nefropati (IgAN).

- Studien uppfyllde sitt primära effektmått där Nefecon påvisade en påtaglig statistiskt signifikant skillnad gentemot placebo (p-värde < 0.0001) i uppskattad glomerulär filtrationshastighet (eGFR) under en två-årsperiod med 9 månaders behandling med Nefecon eller placebo och sedan 15 månaders uppföljning utan behandling.
- Understödjande eGFR relaterade lutningsanalyser (eng. slope analyses) över 2-år var statistiskt signifikanta och kliniskt relevanta, vilket återspeglar en ihållande behandlingsnytta.
- Behandlingsnyttan för eGFR observerades i hela studiepopulationen, oberoende av urinprotein-till-kreatinin-förhållandet (UPCR) till baslinjen, vilket bolaget anser stödjer en regulatorisk ansökan för fullt godkännande i hela studiepopulationen.
- UPCR-reduktionen som observerades var varaktig, vilket speglar en långvarig behandlingseffekt även under uppföljningsperioden om 15-månader utan behandling.

"Detta är verkligen ett fantastiskt resultat för IgAN-patienter. Studien återspeglar varaktig påverkan på njurfunktionen över hela studiepopulationen med en behandling som var specifikt utformad för att behandla IgAN genom att nedreglera patogena IgA1-antikroppar vid deras förmodade källa. Vi tror att datan, baserad på Fas 3-studiepopulationen, stödjer regulatorisk ansökan om fullständigt godkännande," sa VD Renée Aguiar-Lucander.

"Datan visar njurfunktionsskyddet från Nefecon och pekar på att behandlingsmetoden erbjuder patienter en verkligt sjukdomsmodifierande behandling med varaktig minskning av proteinuri under två år och fortsatt eGFR-nytta. Viktigt är att Nefecon tolererades väl och tillsammans med proteinuri och eGFR-data betyder det att Nefecon har befäst sin plats som ett nyckel-behandlingsalternativ för patienter med IgA-nefropati med risk för progressiv njurfunktionsförlust," säger Dr. Jonathan Barratt, Mayer Professor i njurmedicin vid Leicester University.

"Presenterad data visar att det finns ett alternativ för patienter med IgA-nefropati specifikt inriktad på sjukdomen, som på ett säkert sätt kan bromsa och fördröja utvecklingen av njursjukdom. De ihållande effekterna av proteinuri och av eGFR är imponerande och kliniskt relevanta", säger Richard Lafayette, Professor i medicin (nefrologi) vid Stanford University.

Datan från del B tillhandahåller mer långsiktiga data från fas 3 NeflgArd-studien, som läste ut toplinedata från del A i november 2020. Ytterligare 29 kinesiska patienter, som endast krävs för lokala kinesiska regulatoriska ändamål, förväntas slutföra del B under det tredje kvartalet 2023. Baserat på del A-data fick Calliditas ett accelererat godkännande från U.S. Food and Drug Administration (FDA) i december 2021 och ett villkorat marknadsföringstillstånd från Europeiska kommissionen (EC) i juli 2022, vilket var första gången ett läkemedel blev godkänt för behandling av IgAN i USA och europeiska ekonomiska samarbetsområdet (EES). Nefecon marknadsförs av Calliditas

i USA under varumärket TARPEYO® och av STADA Arzneimittel AG i EES, Schweiz och Storbritannien under varumärket Kinpeygo®.

"Jag är glad över det positiva resultatet i NeflgArd-studien. Det är en viktig milstolpe och ett resultat av många års engagemang och hårt arbete från många personer som varit involverade i studien. Jag vill passa på att särskilt tacka läkare och personal som varit involverade i studien och naturligtvis de deltagande patienterna," säger Calliditas CMO, Dr Richard Philipson.

På grundval av datan planerar Calliditas att ansöka om fullständigt godkännande från FDA och supportera ansökan om fullständigt godkännande från Europeiska kommissionen (EC) och MHRA, Storbritannien under 2023 för patienter med primär IgAN baserat på fas 3-studiepopulationen.

NeflgArd topline resultat

Analysen inkluderade 364 patienter som diagnostiserats med primär IgAN och som hade en bakgrund av optimerad och stabil behandling med renin-angiotensinsystemet (RAS) hämmare. Patienterna randomiserades i förhållandet 1:1 till en av två behandlingsgrupper – Nefecon 16 mg/dag oralt eller placebo – och behandlades i 9 månader dagligen och övervakades sedan under 15 månader utan behandling.

eGFR-data

Det viktigaste primära effektmåttet, eGFR under 2 år, var i genomsnitt 5,05 ml/min/1,73 m² högre med Nefecon jämfört med placebo (p<0.0001). Genomsnittlig förändring i eGFR under 2-årsperioden var -2,47 ml/min/1,73 m² för Nefecon 16 mg jämfört med -7,52 ml/min/1,73 m² för placebo.

Säkerhetsprofil

Resultaten indikerar att Nefecon i allmänhet tolererades väl och säkerhetsprofilen var i överensstämmelse med den som observerades i del A av studien.

Studiens utformning

Den globala kliniska prövningen NeflgArd är en pågående fas 3, randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie för att utvärdera effekten och säkerheten av TARPEYO 16 mg en gång dagligen jämfört med placebo hos vuxna patienter med primär IgAN som tillägg till optimerad RAS-hämmare terapi.

Del A av studien inkluderade en 9-månaders blindad behandlingsperiod och en 3-månaders uppföljningsperiod. Det primära effektmåttet var UPCR och eGFR var ett sekundärt effektmått. Del B inkluderade en uppföljningsperiod utan medicinering bestående av 12 månader där effektmåttet bestod av eGFR under hela 2 års perioden för patienter som behandlades med TARPEYO eller placebo i del A i en population bestående av totalt 360 patienter.

Studien uppfyllde sitt primära mål i del A genom att visa en statistiskt signifikant minskning av urinproteinkreatininkvoten (UPCR) eller proteinuri efter 9 månaders behandling med 16 mg en gång dagligen av TARPEYO jämfört med placebo. Patienter som tog TARPEYO plus RAS-hämning (n=97) visade en statistiskt signifikant minskning med 34 % från baslinjen jämfört med 5 % med enbart RASi (n=102) efter 9 månader, vilket resulterade i UPCR-reduktion med 31 % (16 % till 42 %) p=0,0001,3 Vid 9 månader var det en skillnad på 3,87 ml/min/1,73 m² i eGFR-absolut förändring med TARPEYO plus RASi vs enbart RASi (-0,17 vs. -4,04).

Topline data för NeflgArd studien rapporterades ut den 12 mars 2023, där det primära effektmåttet för eGFR uppfylldes enligt ovan. Studien förväntas avslutas under tredje kvartalet 2023 när de sista 29 patienterna i Kina (krävs ej för globala regulatoriska ändamål) har avslutat 9 månaders behandling och 15 månaders observation.

Inbjudan till telefonkonferens:

Bolaget kommer att hålla en direktsänd webbsändning för investerare måndagen den 13 mars 2023 kl. 13:00. Registrering för webbsändning: <https://lifescievents.com/event/calliditas-webcast/>

För mer information, vänligen kontakta:

Mikael Widell, Investerarrelationer Calliditas

E-post: mikael.widell@calliditas.com

Telefon: 0703 11 99 60

Denna information är sådan som Calliditas är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 12 mars 2023 kl. 18:30.

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. 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 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.