

## FDA beviljar Calliditas accelererat godkännande för behandling av patienter med primär IgA-nefrit med risk för snabb sjukdomsprogression

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas") tillkännagav idag att amerikanska läkemedelsmyndigheten Food and Drug Administration (FDA) har beviljat ett accelererat godkännande för Tarpeyo™ (budesonid), en ny oral formulering som riktar in sig på nedreglering av IgA1, för behandling av vuxna patienter med primär IgA-nefrit (IgAN) med risk för snabb sjukdomsprogression. Tarpeyo, som utvecklades under projektnamnet Nefecon, är den första behandlingen någonsin som godkänts för behandling av IgAN.

Det accelererade godkännandet av Tarpeyo är baserat på resultat från del A av NeflgArd-studien, som rapporterade top line-data i november 2020. Studien uppnådde det primära effektmåttet av proteinuri-reduktion jämfört med optimerad renin-angiotensin-system (RAS)-hämning, och visade även en statistiskt signifikant effekt på njurfunktion, representerad av eGFR efter 9 månaders behandling. Det accelererade godkännandet är för reduktion av proteinuri hos patienter med risk för snabb sjukdomsprogression, generellt beskrivet som ett urin protein till-kreatin-förhållande (UPCR)  $\geq 1.5\text{g/g}$ .

"Detta accelererade godkännandet av Tarpeyo är en fantastisk milstolpe för patienter som lever med IgAN. Som den första och enda godkända behandlingen specifikt utvecklat för denna progressiva njursjukdom ger detta antligen hopp för IgAN-patienter. Jag är oerhört stolt över hela organisationens outtröttliga fokus på att utveckla en banbrytande medicin för en sjukdom som helt saknat godkända behandlingsalternativ. Jag vill också skicka ett stort tack till alla patienter och läkare som genom sitt deltagande i vår studie runt om i världen gjort detta möjligt," säger VD Renée Aguiar-Lucander. Vi ser fram emot att lansera produkten i USA tidigt under första kvartalet nästa år och därmed erbjuda ett riktigt alternativ för patienter med aktivt sjukdomsförlopp."

Calliditas kommer omedelbart att börja marknadsföra Tarpeyo till njurspecialister i USA och förväntar sig att Tarpeyo kommer att vara kommersiellt tillgängligt för patienter i USA tidigt under första kvartalet 2022.

USA:s accelererade godkännandeprocess förlitar sig på erforderliga bekräftande data efter godkännande för att verifiera att läkemedlet ger den förväntade kliniska nyttan. Den bekräftande B-delen av NeflgArd-studien, som är utformad för att tillhandahålla data om långsiktig njurnytta mätt med eGFR, var fullrekryterad i januari 2021, och utläsning av data förväntas i början av 2023, med målet att stödja ett fullt godkännande i USA för behandling av patienter med primär IgAN. Full information angående läkemedelsmärkningen för den amerikanska marknaden finns på länk: <https://bit.ly/3z5jnMR>

### Investerarpresentation

Calliditas arrangerar en investerars-webbcast angående Tarpeyo-godkännandet, med presentationer av VD Renée Aguiar-Lucander och Andrew Udell, President of North America, den 16 december kl 14:00 CET.

Länk till webbsändning: <https://tv.streamfabriken.com/press-conference-audiocast-december-2021>

För att delta i telefonkonferensen vänligen använd följande nummer:

SE: +46 856642651 PIN: 44920298#

UK: +44 3333000804 PIN: 44920298#

US: +1 6319131422 PIN: 44920298#

**För mer information, vänligen kontakta:**

**Renée Aguiar-Lucander**, VD Calliditas

E-post: renee.lucander@calliditas.com

**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 kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 15 december 2021 kl. 21:45.*

**Om NeflgArd-studien**

FDA-godkännandet av Tarpeyo™, även känt som Nefecon, är baserat på kliniska data från den pågående registreringsgrundande kliniska fas 3-studien NeflgArd, en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, internationell multicenterstudie som undersökte effekten av Tarpeyo kontra placebo i vuxna patienter med primär IgA-nefropati (IgAN). NeflgArd-studien består av två delar.

Del A, som är grunden för potentiella myndighetsansökningar och godkännanden, tillhandahåller data om Tarpeyos effektivitet och säkerhet. Calliditas läste ut topline-resultat för del A av NeflgArd studien 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 Tarpeyo jämfört med placebo, med signifikant fortsatt förbättring efter 12 månader. Topline analysen av det primära effektmåttet visade i genomsnitt 31% reduktion i 16 mg armen jämfört med baslinjen, analys baserat på MMRM visade 34% reduktion och placeboarmen visade i genomsnitt 5% reduktion jämfört med baslinjen, vilket ger en genomsnittlig behandlingseffekt på 27%, respektive 29% 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 Tarpeyo 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 m<sup>2</sup> i placebogrupperna under 9 månader jämfört med en reduktion med endast 0,17 ml/ min/ 1,73 m<sup>2</sup> i behandlingsgruppen. Tarpeyo tolererades generellt väl.

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 var helt rekryterad i januari 2021 och målet är att läsa ut data i början av 2023, efter att alla patienter har slutfört två år i studien.

**Om Tarpeyo™**

Tarpeyo är godkänt i USA för behandling av patienter med primär IgA-nefropati (IgAN) med risk för snabb sjukdomsprogression. Tarpeyo godkändes av FDA enligt den accelererade godkännandeprocessen (*Accelerated Approval*), som kan användas för ett läkemedel för en allvarlig eller livshotande sjukdom som ger en meningsfull terapeutisk fördel gentemot befintliga behandlingar och visar en effekt på ett surrogat-effektmått som rimligen kan förutsäga klinisk nytta. Tarpeyo har klassificerats som sär-läkemedel för behandling av IgAN i USA och Europa. Tarpeyo är en patenterad oral formulering av en potent och välkänd aktiv substans – budesonid – för riktad frisättning. Formuleringen är utformad för att leverera läkemedlet till Peyers plack i nedre tunntarmen, där sjukdomen uppstår, enligt de dominerande patogenesmodellerna. Tarpeyo kommer från TARGIT-teknologin, som gör att ämnet kan passera genom magen och tarmen utan att absorberas, och att släppas ut på ett pulslänkande sätt först när det når nedre tunntarmen.

**Om Calliditas**

Calliditas Therapeutics är ett biofarmabolag 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. Företaget har nyligen beviljats

accelererat godkännande av amerikanska FDA för sin produkt Tarpeyo, för behandling av den autoimmuna njursjukdomen primär IgA-nefropati (IgAN). Calliditas främsta produktkandidat, Tarpeyo - en egenägd, ny oral formulering av budesonid, ett etablerat, mycket potent lokalt immunsuppressivt läkemedel- är det första läkemedlet godkänt för behandling av primär IgAN. Calliditas har för avsikt att kommersialisera Tarpeyo i USA i egen regi. Calliditas planerar även att utföra kliniska studier med NOX-hämmare i primär gallkolangit (*primary biliary cholangitis*, PBC) och huvud- och halscancer. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT). Besök [www.calliditas.com](http://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.