

Positivt FDA-beslut om surrogatmarkör och design av Calliditas Therapeutics Fas 3-studie mot IgA-nefropati

Stockholm 20 november 2017. Calliditas Therapeutics AB (f d Pharmalink AB) aviserade i dag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten Food & Drug Administration (FDA) har accepterat bolagets design av Fas 3-studien med den ledande läkemedelskandidaten Nefecon baserad på proteinuri som *endpoint* för accelererat godkännande. Ett globalt fas 3-program inom IgA-nefropati (IgAN) har initierats, och patientrekrytering beräknas inledas under 2018.

Designen av Fas 3-studien med Nefecon accepterades vid det senaste mötet med FDA i september 2017 och bygger på det banbrytande godtagandet av proteinuri som surrogatmarkör för accelererat godkännande, vilket bolaget fick vid ett s k *End of Phase 2b*-möte i januari 2017. Bolaget är av uppfattningen att detta är första gången som FDA har godkänt användningen av proteinuri som surrogat-*endpoint* för en Fas 3-studie inom nefrologi. Calliditas Therapeutics har erhållit sär-läkemedelsstatus för IgAN i både Europa och USA.

Positiva resultat från den avslutade Fas 2b-studien med Nefecon mot IgAN publicerades i den ansedda vetenskapliga tidskriften The Lancet i slutet av mars 2017.

”Jag är glad att våra konstruktiva och befrämjande diskussioner med FDA har fortsatt och att vi har tagit ännu ett betydande steg framåt med myndigheten för att försäkra oss om att vi kan inleda vår Fas 3-studie som planerat. Det är spännande att vara först med att använda proteinuri som surrogatmarkör för ett accelererat godkännande inom denna sjukdom, och vi är hoppfulla att detta kan bli det första godkända läkemedlet för denna patientgrupp”, sade Renée Aguiar-Lucander, VD för Calliditas Therapeutics.

”Betydelsen av dessa möten med FDA kan inte överskattas eftersom de gör det möjligt för oss att fortsätta med full fart med vårt Fas 3-program som vi började förbereda tidigare i år. Vi är begeistrade att fortsätta förberedelserna för att initiera den kliniska studien enligt plan”, fortsatte hon.

”Nefecon utnyttjar en ny verkningsmekanism och har verkligen potential att bli den första godkända behandlingsformen av IgA-nefropati”, kommenterade Professor Jonathan Barratt vid The Department of Infection, Immunity & Inflammation vid Leicesters universitet.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Calliditas Therapeutics AB

Renée Aguiar-Lucander, VD

Mobil: +46 (0)72 252 1006

Epost: renee.lucander@calliditas.se

Mikael Widell, Kommunikationschef

Mobil: +46 (0)70 311 9960

Epost: mikael.widell@calliditas.se

www.calliditas.se

Fakta till redaktionen

Om Calliditas Therapeutics

Calliditas Therapeutics är ett specialläkemedelsföretag med inriktning på utveckling av medicinska produkter inom nischindikationer där det finns betydande ouppfyllda medicinska behov, där företaget antingen delvis eller helt kan delta i kommersialiseringsarbetet. Calliditas Therapeutics fokuserar på utveckling och kommersialisering av sin ledande läkemedelskandidat Nefecon, som framgångsrikt har genomgått en klinisk fas 2b-studie som en potentiell ny behandlingsform för patienter med den inflammatoriska, säräkemedelsdesignerade njursjukdomen IgA nefropati som riskerar att utvecklas till njursvikt. Med uppbackning av starka investerare med en tydlig långsiktig vision och lång erfarenhet att få ut produkter på marknaden syftar Calliditas Therapeutics till att ta Nefecon genom en global fas 3-studie för kommersialisering. Dessutom har företaget identifierat andra potentiella användningsområden för Nefecon i nischindikationer och kommer att undersöka utvecklingen av dessa för att ge nya behandlingar till patienter med otillräckliga medicinska behov.

Besök www.calliditas.se för ytterligare information.

Om Nefecon

Nefecon är en undersökande behandling för patienter med IgA-nefropati (IgAN) som löper risk att utveckla njursvikt (*End Stage Renal Disease, ESRD*). Calliditas Therapeutics har framgångsrikt avslutat en randomiserad, placebo-kontrollerad Fas 2b-studie med Nefecon med 150 patients som riskerar att utveckla ESRD. Studien genomfördes med en standardiserad blodtryckskontroll med en ACE-hämmare och/eller en angiotensinreceptorblockerare (ARB). Rekryteringen av Fas 3-studien är planerad att inledas under 2018.

Nefecon är en oral, målfrisättande och lokalt aktiv formulering som nedreglerar sjukdomsprocessen i njuren genom att utnyttja den viktiga roll som magtarmkanalen spelar i kroppens immunförsvar. Lovande resultat indikerar att behandlingen med Nefecon kan ge kliniska fördelar för patienter med IgAN som riskerar att utveckla ESRD. Behandling med Nefecon kan försena behovet av dialys eller transplantation. Nefecon har beviljats säräkemedelsstatus inom IgAN av Food & Drug Administration (FDA) och den europeiska läkemedelsmyndigheten European Medicines Agency (EMA).

Om IgA-nefropati (IgAN)

IgAN (även känd som Bergers sjukdom) är den vanligaste formen av den kroniska njursjukdomen glomerulonefrit i västvärlden. Det är en allvarlig, autoimmun, progressiv sjukdom som leder till minskad njurfunktion under tio till 20 år. Den kan inträffa vid vilken ålder som helst, men diagnostiseras oftast när patienterna är i 20- eller 30-årsåldern. Uppåt 50 procent av patienterna med IgAN utvecklas sedermera ESRD, ett sjukdomstillstånd som kräver dialys eller njurtransplantation för att patienten ska överleva till följd av sin nedsatta njurfunktion.