

## **Calliditas har lämnat in ansökan om marknadsgodkännande (Marketing Authorisation Application) för Nefecon till EMA**

**Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALTX, Nasdaq Stockholm: CALT) ("Calliditas") tillkännagav idag att företaget har lämnat in en ansökan om marknadsgodkännande (*Marketing Authorisation Application, MAA*) till europeiska läkemedelsmyndigheten EMA för Nefecon, en ny oral formulering som riktar sig mot nedreglering av IgA1 för behandling av primär IgA-nefropati (IgAN).**

Ansökan baseras på positiva data från del A i den registreringsgrundande fas 3-studien NefIgArd, en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, internationell multicenterstudie utformad för att utvärdera effekten och säkerheten av Nefecon jämfört med placebo i 200 vuxna patienter med IgAN. Studien uppnådde sitt primära effektmått av reduktion av proteinuri jämfört med placebo och visade också att njurfunktionen beskyddades genom stabilisering av eGFR vid 9 månader.

Ansökan inkluderar även kliniska data från fas 2-studien NEFIGAN, som också uppnådde samma primära och sekundära effektmått som NefIgArd-studien. NefIgArd-studien visade dessutom att Nefecon i allmänhet tolererades väl, med en säkerhetsprofil i linje med fas 2b-resultaten. Calliditas är det enda företaget som har uppnått positiva data i randomiserade, dubbelblinda, placebokontrollerade kliniska fas 2b- och fas 3-studier av IgAN.

“Detta är ytterligare ett viktigt steg framåt i vår strävan att ta fram det första godkända läkemedlet till patienter som lider av IgAN. Vi ser fram emot att samarbeta med myndigheten med målet att uppnå ett godkännande under första kvartalet nästa år”, säger VD Renée Aguiar-Lucander

Som tidigare rapporterats har MAA för Nefecon beviljats accelererat bedömningsförfarande (*Accelerated Assessment*) av EMA:s kommitté för humanläkemedel (*Committee for Human Medicinal Products, CHMP*). Detta förfarande är avsett att påskynda tillgången till läkemedel som CHMP anser vara av stort terapeutiskt intresse ur folkhälsosynpunkt och särskilt gällande syn på terapeutisk innovation. Accelererad bedömning minskar den maximala tidsramen för granskning av ansökan om marknadsgodkännande till 150 dagar (exklusive klockstopp).

Om Nefecon godkänns kan det vara tillgängligt för patienter i Europa under första halvåret 2022 och skulle bli den första behandlingen som är särskilt utformad och godkänd för behandling av IgAN och som har potential att vara sjukdomsmodifierande.

### **För mer information, vänligen kontakta:**

Mikael Widell, Investerarrelationer Calliditas

E-post: [mikael.widell@calliditas.com](mailto:mikael.widell@calliditas.com)

Telefon: 0703 11 99 60

*Informationen i detta pressmeddelande är sådan som Calliditas är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 28 maj 2021 kl. 14:40.*

### **Om Calliditas Therapeutics**

Calliditas Therapeutics är ett biofarma bolag 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. Calliditas främsta produktkandidat, Nefecon, är en egenägd, ny oral formulering av budesonid, ett etablerat, mycket potent lokalt immunsuppressivt läkemedel, för behandling av den autoimmuna njursjukdomen IgA-nefropati, eller IgAN, för vilken det finns ett stort medicinskt behov som inte tillgodosetts och för vilken det inte finns några godkända behandlingar. Calliditas rapporterade ut positiv top line data i den globala fas 3-studien NeflgArd i IgAN, och vid godkännande har Calliditas för avsikt att kommersialisera Nefecon i USA i egen regi och med partners utanför USA. Calliditas planerar även att utföra kliniska studier med NOX-hämmare i primär gallkolangit (PBC) och onkologi. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT). [www.calliditas.com](http://www.calliditas.com).

### **Om NeflgArd-studien**

Den globala kliniska fas 3-studien NeflgArd, som undersökte effekten av Nefecon kontra placebo hos patienter med primär IgA-nefropati (IgAN), består av två delar. Del A, som är grunden för potentiella myndighetsansökningar och godkännanden, tillhandahåller data om Nefecons effektivitet och säkerhet. Den första patienten i NeflgArd-studien randomiserades av Calliditas i november 2018 och i december 2019 tillkännagav Calliditas fullständig rekrytering av del A, på cirka 146 platser i 19 länder. Calliditas läste ut topline-resultat för del A 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 Nefecon jämfört med placebo, med signifikant fortsatt förbättring efter 12 månader. Analysen av det primära effektmåttet visade i genomsnitt 31% reduktion i 16 mg armen jämfört med baslinjen, och placeboarmen visade i genomsnitt 5% reduktion jämfört med baslinjen, vilket ger en genomsnittlig behandlingseffekt på 27% 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 Nefecon 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 placebogruppen under 9 månader jämfört med en reduktion med endast 0,17 ml/min / 1,73 m<sup>2</sup> i behandlingsgruppen. Resultaten indikerar att Nefecon generellt tolererades väl och var i överensstämmelse med säkerhetsprofilen i fas 2b studien samt med den etablerade säkerhetsprofilen för Budesonid.

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 rekryterades klart i januari 2021 och data planeras att läsas ut i början av 2023, efter att alla patienter har deltagit 2 år i studien.

### **Om Nefecon**

Nefecon är en patenterad oral formulering av en potent och välkänd aktiv substans – budesonid – med riktad frisättning. Formuleringen är designad att leverera läkemedlet till Peyers plackregionen i den nedre tunntarmen, där sjukdomen har sitt ursprung enligt de dominerande modellerna för dess patogenes. Nefecon härrör från TARGIT-tekniken, som gör det möjligt för substansen att passera genom magen och tarmen utan att absorberas och frisättas på ett pulslignande sätt när den når den nedre tunntarmen. Kombinationen av dos och optimerad frisättning krävs för att vara effektiv hos patienter med IgA-nefropati, vilket visats i en stor fas 2b-studie som Calliditas har genomfört. Förutom dess potenta lokala effekt är en annan fördel med att använda denna aktiva substans att den har mycket låg biotillgänglighet, dvs. cirka 90% av den inaktiveras i levern innan den når den systemiska cirkulationen. Detta innebär att en hög koncentration kan appliceras lokalt där det behövs men med endast mycket begränsad systemisk exponering och biverkningar.

### **Framåtblickande uttalanden**

Detta pressmeddelande innehåller framåtriktade uttalanden såsom de definieras i den vid var tid gällande amerikanska Private Securities Litigation Reform Act från 1995. Detta inkluderar, men är inte begränsat till, uttalanden avseende Calliditas strategi, affärsplaner, regulatoriska ansökningar och fokus. Orden "kan", "kommer", "skulle kunna", "borde", "förvänta", "planera", "avser", "har för avsikt", "tror", "beräknar", "förutspår", "förutser", "potentiell", "fortsätta", "siktat på" och liknande uttryck syftar till att identifiera framåtblickande uttalanden, dock att sådana framåtblickande uttalanden inte alltid innehåller sådana identifierande ord. Framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande baseras på ledningens nuvarande förväntningar och antaganden och är föremål för ett antal risker, osäkerhetsfaktorer och viktiga faktorer som skulle kunna resultera i faktiska händelser eller resultat som väsentligen skiljer sig från sådana som följer explicit eller implicit av framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande, inklusive, men inte begränsat till, Calliditas verksamhet, potentialen för att FDA skall godkänna ansökan och framgången för läkemedelsansökan för Nefecon, kliniska studier, leverantörskedja, strategi, mål och förväntade tidplaner, konkurrens från andra biofarmabolag och andra risker identifierade i avsnittet "Riskfaktorer" i Calliditas rapporter som inlämnats till amerikanska Securities and Exchange Commission. Calliditas uppmanar er att inte lägga otillbörlig tillit till några framåtblickande uttalanden, som gäller endast per dagen de är lämnade. Calliditas avsäger sig varje skyldighet att offentligt uppdatera eller revidera några framåtblickande uttalanden, oavsett som en följd av ny information, framtida händelser eller annat. Framåtblickande uttalanden i detta pressmeddelande avser Calliditas syn endast per dagens datum och ska inte betraktas som Calliditas syn per någon senare tidpunkt.