

## **Calliditas Therapeutics har beviljats sär läkemedelsstatus av FDA för autoimmun hepatit**

**Calliditas Therapeutics AB (publ) ("Calliditas") tillkännagav idag att amerikanska Food and Drug Administration (FDA) har beviljat sär läkemedelsstatus (*orphan drug designation, ODD*) till bolaget för behandling av autoimmun hepatit (AIH). Mer information om ODD har publicerats på [www.fda.gov](http://www.fda.gov).**

AIH är en kronisk, autoimmun sjukdom i levern som uppstår när kroppens immunsystem attackerar leverceller och orsakar levern att bli inflammerad. Sjukdomen kan förekomma i vilken etnisk grupp och ålder som helst, men diagnostiseras oftast hos patienter mellan 40 och 50 år. Det uppskattas att patientpopulationen i USA uppgår till cirka 50 000.

Idag finns det ett betydande ej tillgodosett medicinskt behov relaterat till brist på tolerans och biverkningar av systemiska steroider som administreras till patienter. Företaget planerar att komma överens med FDA om den regulatoriska vägen framåt för denna indikation senare i år.

"Vi är mycket glada att få ODD i USA för behandling av AIH. Detta bekräftar det stora ej tillgodosedda medicinska behovet och uppmuntrar oss att fortsätta undersöka sär läkemedelsindikationer där vi kan utnyttja vår existerande expertis. Det här är en förödande sjukdom med få medicinska alternativ idag, vilket vi tror är fallet även i andra kroniska leverindikationer ", kommenterade Renée Aguiar-Lucander, VD för Calliditas Therapeutics.

Bolaget driver för närvarande en global registreringgrundande klinisk fas 3-studie för behandling av den sällsynta sjukdomen IgA nefropati, vilken redan erhållit ODD av FDA och European Medicines Agency (EMA). Top-line data för IgA nefropati förväntas i H2 2020

*Informationen i pressmeddelandet är sådan som Calliditas Therapeutics AB (publ) är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom nedanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 5 februari 2019 kl. 10:15.*

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

Mikael Widell, Informationschef  
Epost: [mikael.widell@calliditas.com](mailto:mikael.widell@calliditas.com)  
Tel: 0703-11 99 60

### **Om Calliditas**

Calliditas Therapeutics är ett specialistläkemedelsbolag med säte i Stockholm. Bolaget utvecklar högkvalitativa läkemedel i nischindikationer där det finns ett betydande medicinskt behov som inte tillgodosetts och där Calliditas helt eller delvis kan driva och delta i kommersialiseringen. Calliditas fokuserar på att utveckla och kommersialisera produktkandidaten Nefecon, en unik formulering optimerad för att kombinera en fördröjningseffekt med en koncentrerad frisättning av den aktiva substansen budesonid, inom ett avsett målområde. Denna patenterade, lokalt verkande formulering är avsedd för behandling av patienter med den inflammatoriska njursjukdomen IgA-nefropati (IgAN). Calliditas driver en global fas-3 studie inom IgAN och har för avsikt att kommersialisera Nefecon i egen regi i USA. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (ticker: CALTX). Besök [www.calliditas.com](http://www.calliditas.com) för ytterligare information.

### **Om autoimmun hepatit (AIH)**

Autoimmun hepatit (AIH), tidigare kallad lupoid hepatit, är en kronisk, autoimmun sjukdom i levern som uppstår när kroppens immunsystem attackerar leverceller som orsakar levern att bli inflammerad. Vanliga initiala symtom inkluderar trötthet eller muskelsmärta eller tecken på akut leverinflammation inklusive feber, gulsot och

buksmärta. Individer med autoimmun hepatit har ofta inga initiala symptom och sjukdomen upptäcks genom onormala leverfunktionstester.

Anomalös presentation av MHC klass II-receptorer på ytan av leverceller, möjligen på grund av genetisk predisposition eller akut leverinfektion, orsakar ett cellmedierat immunsvaret mot kroppens egen lever vilket resulterar i autoimmun hepatit. Detta onormala immunsvaret resulterar i leverinflammation, vilket kan leda till ytterligare symptom och komplikationer som trötthet och cirros. Sjukdomen kan förekomma i vilken etnisk grupp och ålder som helst, men diagnostiseras oftast hos patienter mellan 40 och 50 år.

**Om Orphan Drug Designation (ODD)**

FDA:s Orphan Drug Act (ODA) ger särskild status till ett läkemedel eller en biologisk produkt för behandling av en ovanlig sjukdom som påverkar färre än 200 000 personer i USA. Särskild läkemedelsstatus (Orphan drug designation, ODD) är förenat med utvecklingsincitament för sponsorn/bolaget såsom skattelättnader, protokollstöd och upp till sju års marknadsexklusivitet från tidpunkten för godkännande av ansökan om marknadsgodkännande för läkemedlet, en så kallad BLA (Biologics License Application).