

Calliditas utläser positiva topline-data från fas 2b-studien TRANSFORM i primär gallkolangit

Calliditas Therapeutics AB (Nasdaq: CALT, Nasdaq Stockholm: CALTX) ("Calliditas") meddelade idag att fas 2b-studien TRANSFORM uppfyllt sitt primära effektmått och visat en statistiskt signifikant förbättring av ALP (Alkaline Phosphatase), för båda doserna testade jämfört med placebo. Studien utvärderade NOX-enzymhämmaren setanaxib hos patienter med primär gallkolangit och förhöjd leverstelhet.

TRANSFORM-studien är en dubbelblindad, randomiserad och placebokontrollerad fas 2b-studie som undersöker effekten av setanaxib i doserna 800 mg på morgonen plus 400 mg på kvällen samt 800 mg två gånger dagligen under en behandlingsperiod om 24 veckor. Analysen baserades på en datamängd av 76 patienter med primär gallkolangit och förhöjd leverstelhet.

Behandlingsgrupperna var relativt välbalanserade och inga kliniskt relevanta skillnader mellan de olika grupperna observerades vid baslinjen. Resultatet är extra glädjande då över 40 procent av studiepopulationen fick dubbelterapi – de behandlades alltså med ursodeoxicholsyra (UDCA) och antingen Ocaliva (obeticholsyra) eller Bezafibrat (PPAR agonist) som basterapi – och 13 procent behandlades med alla tre läkemedlen under studien, vilket visade att setanaxib hade en inkrementell och kliniskt relevant fördel utöver den nuvarande vårdstandarden. Patienter som behandlades med setanaxib fick statistiskt signifikanta förbättringar av det primära effektmåttet, ALP, med 19 procent i 1 600 mg-armen och 14 procent i 1 200 mg-armen. De uppvisade även en positiv trend med avseende på leverstelhet enligt en utvärdering med FibroScan vid 24 veckor. Behandlingen med setanaxib tolererades i allmänhet väl, och det övergripande antalet behandlingsrelaterade biverkningar samt allvarliga behandlingsrelaterade biverkningar var liknande i armarna med aktivt läkemedel och placeboarmen. Antalet behandlings-relaterade biverkningar som ledde till avslutad medverkan i studien var högre i armarna med aktivt läkemedel jämfört med placebo.

– Det är oerhört uppmuntrande att se en signifikant statistisk behandlingseffekt i denna svårbehandlade studiepopulation som redan behandlas med flera läkemedel i en relativt liten studie, säger Professor Dave Jones OBE; Director, NHIP Academy; Director, Newcastle Centre for Rare Disease; professor i leverimmunologi, Newcastle University; och hedersdoktor i hepatologi, Newcastle upon Tyne Hospitals.

– Dessa positiva data ger ytterligare kliniska bevis på potentialen för setanaxib i många sällsynta sjukdomar, och vi är mycket glada över att vi nu har ytterligare positiv klinisk evidens för vår unika plattform med NOX-hämmare. Vi ser fram emot att läsa ut ytterligare pågående studier såsom IPF och Alports syndrom, säger Calliditas VD Renée Aguiar-Lucander.

– Jag är väldigt glad över att vi har sett statistisk signifikans samt kliniskt meningsfulla förbättringar vid denna indikation. Jag vill inte bara tacka forskarna och den personal som arbetat med den kliniska studien, utan även – kanske viktigast av allt – tacka de patienter som har bidragit till denna viktiga studie, säger Calliditas CMO Richard Philipson.

Bolaget genomför ytterligare kliniska studier med setanaxib, och topline-data från den forskarledda fas 2-studien vid idiopatisk lungfibros (IPF) förväntas utläsas under fjärde kvartalet 2024 eller första kvartalet 2025. Bolaget bedriver även en pågående proof-of-concept-studie i fas 2 i den ovanliga njursjukdomen Alports syndrom där topline-data förväntas under 2025.

För ytterligare information, kontakta:

Åsa Hillsten, Head of IR & Sustainability, Calliditas

Tel.: +46 76 403 35 43, E-post: asa.hillsten@calliditas.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 26 juli 2024, kl. 08:00 CET.

Om primär gallkolangit

Primär gallkolangit är en progressiv och kronisk autoimmun leversjukdom som orsakar immunsador på gallepitelceller, vilket resulterar i kolestas och fibros. Detta är en sällsynt sjukdom, och baserat på dess kända prevalensnivåer uppskattar vi att det finns cirka 140 000 patienter i USA, där den årliga incidensen varierar från 0,3 till 5,8 fall per 100 000

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 betydande medicinska behov som inte tillgodosetts. Bolaget är noterat på Nasdaq Stockholm (kortnamn: CALTX) och The Nasdaq Global Select Market (kortnamn: CALT). Besök 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 här 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.