

PRESS RELEASE

Egetis Therapeutics AB

Stockholm, Sverige, 18 februari, 2022

FDA beviljar sär läkemedelsstatus till Emcitate för behandling av *Resistance to Thyroid Hormone type beta (RTH-β)*

Stockholm, Sverige, 18 februari 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (ticker: EGTX) meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har beviljat sär läkemedelsstatus till Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratricol) för behandling av sköldkörtelhormonresistens typ beta (Resistance to Thyroid Hormone type beta, RTH-β).

Emcitate är Egetis Therapeutics ledande läkemedelskandidat och är i Fas III klinisk utveckling med planerade ansökningar om marknads godkännande i USA och Europa 2023 för behandling av MCT8 brist, en ovanlig genetisk sjukdom med stort medicinskt behov och ingen tillgänglig behandling. Den idag beviljade sär läkemedelsstatusen för RTH-β är ett direkt resultat av Bolagets arbete med att utvidga indikationerna för Emcitate programmet till närliggande men distinkta tillstånd.

RTH-β är en ovanlig, medfödd genetisk sjukdom som orsakas av mutationer i den ena av kroppens två typer av sköldkörtelhormonreceptorer och leder till nedsatt sköldkörtelhormonsignallering i vävnader som är beroende av sköldkörtelhormonreceptor beta. De kliniska manifestationerna av RTH-β inbegriper en blandning av symptom av tyreotoxikos och hypotyreos i olika vävnader, såsom struma, fettlever, blodfetsrubbningsar, nedsatt hörsel och färgseende, neurokognitiva funktionsstörningar och kardiovaskulär stress. Incidensen uppskattas till mellan 1 per 20.000-40.000 nyfödda. Det finns i dagsläget ingen godkänd behandling för de patienter som lider av RTH-β.

“Vi är mycket stolta över att beviljas sär läkemedelsstatus för ytterligare en indikation för Emcitate. En möjlig indikationsexpansion till RTH-β skulle addera substantiellt värde och utöka livscykeln för Emcitate programmet. Att vi nu erhållit sär läkemedelsstatus för RTH-β bekräftar det stora medicinska behovet och Emcitates potential att bli en del av behandlingen för detta tillstånd. Detta motiverar oss att fortsätta undersöka möjliga utvecklingsvägar till ett marknads godkännande också för denna sjukdom, i vilket vi kan använda oss av vår befintliga expertis och resurser. RTH-β utgör ett stort medicinskt behov och detta är ytterligare ett exempel på hur vi fortsätter vårt arbete för att tillhandahålla läkemedel till patienter med ovanliga sjukdomar som idag har inga eller få behandlingsalternativ.” sa Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.

Emcitate har sedan tidigare beviljats sär läkemedelsstatus i såväl EU som USA för behandling av MCT8 brist och erhöll en så kallad Rare Pediatric Disease Designation (RPD) i november 2020 och så kallad Fast Track status i oktober 2021 från den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA.

Regelverket för Orphan Drug Designation i USA ger sär läkemedelsstatus till läkemedel som bedöms på ett säkert och effektivt vis kunna behandla, diagnosticera eller förebygga ovanliga sjukdomar och tillstånd som drabbar färre än 200.000 invånare i USA. Sär läkemedelsstatus ger innehavaren ett antal incitament, inklusive skattefördelar för kliniska prövningar, undantag från vissa avgifter och möjlighet till sju års marknadsexklusivitet efter marknads godkännande. Mer information om Orphan Drug Designation regelverket återfinns på www.fda.gov.

EGETIS THERAPEUTICS

För mer information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

Email: nicklas.westerholm@egetis.com

The information was submitted for publication, through the agency of the contact person set out above, at 2022-02-18, 11:30 CET.

Om sköldkörtelhormonresistens typ beta

RTH- β (Resistance to Thyroid Hormone type beta) är en ovanlig medfödd genetisk sjukdom med stort medicinskt behov och ingen godkänd behandling, som drabbar 1 av 20 000–40 000 individer. Sköldkörtelhormon är essentiellt för normal utveckling och reglering av ämnesomsättningen i princip alla vävnader och utövar sin effekt genom att binda till en nukleär receptor, vilket resulterar i uttryck av hormonresponsiva gener. Det finns två typer av sköldkörtelhormonreceptorer i kroppen (alpha och beta), som uttrycks preferentiellt i olika vävnader. RTH- β orsakas av mutationer i genen för sköldkörtelhormonreceptor beta och leder till nedsatt sköldkörtelhormonsignallering i vävnader som är beroende av denna receptor. De kliniska manifestationerna av RTH- β inbegriper en blandning av symptom av tyreotoxikos och hypotyreos i olika vävnader, såsom struma, fettlever, blodfettsubbningar, nedsatt hörsel och färgseende, neurokognitiva funktionsstörningar och kardiovaskulär stress. RTH- β drabbar båda könen lika och uppvisar normal ett så kallat autosomt dominant nedärvningsmönster. Homozygota mutationer är extremt ovanliga men ger mycket uttalade symptom som ofta leder till att drabbade patienter avlider redan tidigt under barndomen.