

Egetis erhåller positivt CHMP-utlåtande för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist

Stockholm den 12 december 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelar idag att den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) kommitté för humanläkemedel (CHMP) rekommenderar godkännande av Emcitate® (tiratricol) för "Behandling av MCT8-brist". Den europeiska kommissionen, som ansvarar för att bevilja centrala marknadsföringstillstånd i EU, kommer att granska CHMP:s rekommendation och förväntas fatta ett slutgiltigt beslut inom 67 dagar. Vid godkännande kommer tiratricol att bli det första godkända läkemedlet för MCT8-brist.

Nicklas Westerholm, VD för Egetis Therapeutics, kommenterade:

"Jag vill tacka alla patienter, föräldrar, vårdgivare och forskare som deltagit i det omfattande utvecklingsprogrammet för tiratricol (Emcitate®) under åren. Jag vill också uttrycka min tacksamhet för det engagemang och dedikerade arbete som Egetis medarbetare och samarbetspartners visat.

"Detta är den enskilt viktigaste milstolpen i Egetis historia och ett stort steg framåt mot att bygga ett hållbart bolag inom sällsynta sjukdomar. Vi ser fram emot att lansera tiratricol i EU, förutsatt att Europeiska kommissionen beviljar marknadsföringstillstånd."

Monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist orsakas av mutationer i genen för MCT8, vilket leder till nedsatt transport av sköldkörtelhormon till vissa celler och över blod-hjärnbarriären, samt störningar i normal reglering av sköldkörtelhormon. Patienter med MCT8-brist har därmed låga nivåer av sköldkörtelhormon i centrala nervsystemet och förhöjda nivåer av det aktiva hormonet T3 i perifera vävnader. Detta orsakar en komplex symtombild med neurologiska utvecklingsförseningar och intellektuell funktionsnedsättning.

Förhöjda cirkulerande nivåer av T3 skadar vävnader som inte är beroende av MCT8 för transport, såsom hjärta, muskler, lever och njurar, vilket leder till symtom som tillväxthämning, kardiovaskulär stress, sömnlöshet och muskelförtvining. Den kroniska tyreotoxikosen anses bidra till den förhöjda dödligheten och förkortade livslängden hos denna patientgrupp, där medianlivslängden är 35 år (Groeneweg et al. 2020). För närvarande finns ingen godkänd behandling för MCT8-brist.

Marknadsföringsansökan för tiratricol bygger främst på resultaten från Triac Trial I (NCT02060474; Groeneweg et al. 2019) och den retrospektiva EMC-kohortstudien (van Geest et al. 2022).

Triac Trial I var en studie med 46 patienter som utvärderade effekterna av 12 månaders behandling med tiratricol på serum T3-koncentrationer och perifera symtom på tyreotoxikos vid MCT8-brist. Resultaten visade att tiratricol normaliserade T3-nivåer och förbättrade kliniska manifestationer av tyreotoxikos samt vårdgivarrapporterade utfall kopplade till MCT8-brist.

EMC-kohortstudien var en 'real-life' uppföljningsstudie som omfattade långtidseffekter och säkerhet hos 67 patienter. Studien visade att kliniska konsekvenser av MCT8-brist lindrades i upp till sex år hos patienter i alla åldrar, vilket visar på tiratricols positiva effekter för den enskilde patienten i dennes vardag.

Den fullständiga indikationen lyder: Emcitate är indikerad för "Behandling av perifer tyreotoxikos hos patienter med MCT8-brist (Allan-Herndon-Dudley-syndrom), från födseln". Ett marknadsföringstillstånd för Emcitate skulle vara giltigt i samtliga 27 EU-medlemsländer samt Island, Liechtenstein och Norge. Egetis genomför även en beslutsgrundande, randomiserad och placebokontrollerad studie (ReTRIACt, NCT05579327) för MCT8-brist i syfte att stödja en ansökan om marknadsgodkännande (NDA) i USA.

Referenser:

Groeneweg, S. et al. *Lancet Diabetes Endocrinol* 2019; 7: 695–706

Groeneweg, S. et al. *Lancet Diabetes Endocrinol* 2020; 8: 594–605

Van Geest, F. S. et al. *J Clin Endocrinol Metabol* 2022;107: e1136–e1147

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD

+46 (0) 733 542 062

nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations & Business Development

+44 (0) 7500 525 084

karl.hard@egetis.com

Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2024-12-12 15:43 CET.

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas för kommersialisering inom sällsynta läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Bolagets ledande läkemedelskandidat tiratricol (Emcitate®) utvecklas som den potentiellt första godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov och ingen tillgänglig behandling. En klinisk fas IIb-studie (Triac Trial I) samt en kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på sköldkörtelhormon T3-halter i serum och kliniskt relevanta sekundära effektmått. I juni 2024 presenterades topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med tiratricol för behandling av MCT8-brist. Studien undersökte en möjlig ytterligare behandlingseffekt på neurokognitiv utveckling hos små barn yngre än 30 månader med MCT8-brist. Studien uppvisade inte statistiskt signifikant förbättring jämfört med historiska kontroller.

Egetis ansökte om marknadsgodkännande för Emcitate till EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en randomiserad, placebokontrollerad, registreringsgrundande studie på minst 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Som tidigare kommunicerats kommer Bolaget att uppdatera marknaden så snart rekryteringen stängs och vid det tillfället kommer Bolaget även att informera när topline resultat förväntas och när Bolaget planerar att lämna in NDA ansökan.

Emcitate har sällsynt läkemedelsstatus ('orphan drug designation', ODD) i USA och EU för MCT8-brist och RTH-beta. MCT8-brist och RTH-beta är separata indikationer med distinkta patientpopulationer. I USA har *Emcitate* även beviljats Rare Pediatric Disease Designation (RPDD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande. I UK har *Emcitate* erhållit Promising Innovative Medicine (PIM) status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Calmangafodipir (Aladote®) är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att reducera risken för akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. En "proof of principle"-studie har framgångsrikt avslutats och utformningen av en registreringsgrundande fas II/III-studie, Albatross, med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna i USA, EU och Storbritannien. Utvecklingsprogrammet för calmangafodipir har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för tiratricol för MCT8-brist har fullbordats. Calmangafodipir har beviljats ODD i USA och EU.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis erhåller positivt CHMP-utlåtande för Emcitate® \(tiratricol\) för behandling av MCT8-brist](#)