

PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB
Stockholm, 25 okt 2021

Nya långtidsdata bekräftar effekt och säkerhet vid behandling med Emcitate® i patienter med MCT8-brist

Egetis Therapeutics AB (publ) (ticker: EGTX) tillkännagav idag att starka data från 67 patienter som genomgått långtidsbehandling i upp till 6 år med företagets ledande läkemedelskandidat Emcitate (tiratricol) har publicerats i Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism.

Resultaten kommer från en prövarinitierad kohortstudie vid 33 kliniker som utförts av Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, där effekten och säkerheten av Emcitate (tiratricol) undersöktes hos 67 patienter med MCT8-brist, en sällsynt medfödd störning som orsakar problem med transport av sköldkörtelhormon över cellmembran och som ger allvarliga konsekvenser där det idag inte finns någon tillgänglig behandling. Patienter med mutationer i sköldkörtelhormontransportören MCT8 har kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning samt kronisk tyrotoxikos som leder till uttalad undervikt och kardiovaskulär dysfunktion, vilket leder till väsentligt förkortad livslängd. Ungefär 1 av 70 000 män påverkas.

De 67 patienterna hade en medianålder på 4,6 år (intervall: 0,5–66 år) och behandlades med tiratricol i upp till 6 år, med en median på 2,2 år (intervall: 0,2–6,2 år). Studiens primära effektmått var förändringen i serum T3-koncentration från före start av behandling till den senast tillgängliga mätningen. De förspecificerade sekundära effektmåtten var kliniska komplikationer av kronisk perifer tyrotoxikos, inklusive förändring i kroppsvikt och längd, kardiovaskulära symptom och biokemiska markörer som återspeglar sköldkörtelhormonstatus i organ som lever, njure och muskler.

Det primära effektmåttet - den genomsnittliga serum T3-koncentrationen - minskade signifikant från före start av behandling, 4,58 (SD: 1,11) nmol/L, till 1,66 (0,82) nmol/L vid sista besöket; målnivå: 1,4–2,5 nmol/L (genomsnittlig minskning 2,92 nmol/L, 95% CI 2,61–3,23 nmol/L, $p < 0,0001$). Flera kliniskt relevanta och signifikanta förbättringar rapporterades för sekundära effektmått. Kroppsvikt för ålder (Z-score) överskred den för obehandlade historiska kontroller (medelskillnad 0,72, 95% KI: 0,36–1,09, $p = 0,0002$). Genomsnittlig hjärtfrekvens för ålder (Z-score) minskade (genomsnittlig minskning 0,64, 95% CI: 0,29–0,89, $p = 0,0005$). Genomsnittliga SHBG-koncentrationen minskade från 245 (99) nmol/L före behandling till 209 (92) nmol/L vid sista besöket (genomsnittlig minskning 36 nmol/L, 95%CI: 16–57, $p = 0,0008$). Genomsnittliga kreatinin koncentrationen ökade från 32 (11) $\mu\text{mol/L}$ före behandling till 39 (13) $\mu\text{mol/L}$ vid sista besöket (genomsnittlig ökning 7 $\mu\text{mol/L}$, 95%CI: 6–9, $p < 0,0001$). Genomsnittliga CK-koncentrationen förändrades inte signifikant. Inga allvarliga läkemedelsrelaterade biverkningar rapporterades.

Long-term efficacy of T3 analogue Triac in children and adults with MCT8 deficiency: a real-life retrospective cohort study: JCEM: [Link](#)

“Vår studie bekräftar de positiva resultaten från den tidigare TRIAC Trial I-studien med tiratricol, och visar också att de fördelaktiga effekterna bibehålls över tid, upp till sex år. Den robusta effekten som ses för en rad viktiga kliniska och biokemiska parametrar som lindrades varaktigt hos patienter med MCT8-brist oavsett ålder stöder tiratricols potential som behandling av denna sjukdom”, säger huvudförfattaren till artikeln, Dr Edward Visser, MD, PhD, vid Academic Center for Thyroid Diseases, Erasmus Medical Center.

“Dessa data från patienter behandlade i vardagen visar att behandlingen med tiratricol på ett hållbart sätt förbättrar olika aspekter av perifer tyrotoxikos och understryker dess godartade säkerhetsprofil”, säger förstaförfattaren till artikeln, Ferdyn van Geest, MD, vid Academic Center for Thyroid Disease, Erasmus Medical Centrum.

EGETIS THERAPEUTICS

”Vi är mycket glada över att Erasmus Medical Center har publicerat dessa starka data på Emcitates långsiktiga effekt och säkerhet vid behandling av MCT8-brist, ett mycket sällsynt tillstånd med ett betydande medicinskt behov. Vi utvärderar för närvarande hur dessa data kan användas i de kommande ansökningarna till myndigheter i termer av Marketing Authorisation Application (MAA) i Europa och New Drug Application (NDA) i USA, som en del i våra ansträngningar att göra Emcitate tillgängligt för patienter över hela världen som lider av MCT8-brist”, säger Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.

En tidigare klinisk fas II-studie (TRIAC I) publicerades i Lancet Diabetes & Endocrinology 2019 och visade kliniskt relevanta och mycket signifikanta resultat efter ett års behandling med tiratricol av patienter med MCT8-brist i alla åldrar.

Rekrytering av patienter till den pågående fas IIb/III-studien (TRIAC Trial II), som undersöker neurokognitiva effekter av tidigt insatt Emcitate (tiratricol) behandling av mycket unga (<30 månaders ålder) försökspersoner med MCT8-brist fortlöper väl, och studierekryteringen förväntas enligt plan bli färdigställd under fjärde kvartalet 2021.

Emcitate har erhållit sär läkemedelsstatus i både EU i USA. En s k US Rare Pediatric Disease-status beviljades i november 2020, vilket potentiellt berättigar till en Priority Review Voucher vid godkännande i USA och i oktober 2021 erhöll produkten så kallad fast track status från FDA.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

Epost: nicklas.westerholm@egetis.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2021-10-25, 08:00 CET.

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett innovativt, unikt och integrerat läkemedelsutvecklingsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sär läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov. Emcitate är en läkemedelskandidat som utvecklas som den potentiellt första behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov och ingen tillgänglig behandling. En klinisk fas IIb-studie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat. En registreringsgrundande studie (fas IIb/III) startades i december 2020 då första patient doserades och interimresultat förväntas under 2022. Emcitate har sär läkemedelsstatus i USA och Europa och beviljades Rare Pediatric Disease-status i USA i november 2020. Aladote är en ”first-in-class” läkemedelskandidat som utvecklas för att reducera akuta leverskador till följd av paracetamolförgiftning. En proof of principle-studie har framgångsrikt avslutats och utformningen av en registreringsgrundande fas II/III-studie med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sär läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sär läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021.

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

Om MCT8-brist

MCT8-brist är en ovanlig sjukdom som drabbar 1 av 70 000 män med betydande medicinskt behov där det idag inte finns någon behandling. Sköldkörtelhormoner är essentiella för utveckling och kontroll av metabolismen i de flesta typer av vävnader, vilket kräver transport över cellmembran. En av nyckeltransportörerna av sköldkörtelhormon i kroppen över cellmembran är MCT8 (monokarboxylattransportör 8). Mutationer i genen för MCT8, som sitter på X-kromosomen, leder till MCT8-brist, även kallat Allan Herndon Dudley Syndrome (AHDS), vilket enbart drabbar män. MCT8-brist leder till problem med transport av sköldkörtelhormon till olika typer av celler inklusive hjärnan och dess nervceller samt sköldkörtelhormonrubbningar. Avsaknad av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet leder till kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning. De ökade nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormon är skadligt för andra organ som hjärta, muskler, lever och njurar vilket leder till kraftigt nedsatt kroppsvikt, kardiovaskulär påverkan, sömnbrist och muskelbrist. De flesta patienter med MCT8-brist uppnår inte basala motoriska färdigheter såsom att hålla sitt eget huvud eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist.