

## Nya data visar att behandling med tiratricol (Emcitate®) hos patienter med MCT8-brist är förknippad med ökad livslängd

- Ett abstrakt av F. van der Most och medförfattare har publicerats inför European Thyroid Associations 46:e årliga konferens, som hålls i Aten, Grekland, den 7-10 september 2024.
- En internationell 'real world' kohortstudie inkluderade data från 228 patienter på 173 sjukhus i 48 länder.
- Behandling med prövningsläkemedlet tiratricol (Emcitate®) hos barn och vuxna patienter med MCT8-brist är förknippad med en ungefär tre gånger lägre risk för dödlighet. Detta styrker tidigare resultat som visar att tiratricol hållbart lindrade kliniska nyckelsymtom relaterade till perifer tyreotoxikos.

**Stockholm, Sverige, 21 augusti 2024.** Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTIX), meddelade idag innehållet i ett abstrakt av Dr Floor van der Most och medförfattare, Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, som publicerats inför European Thyroid Associations 46:e årliga konferens, som hålls i Aten, Grekland, den 7-10 september 2024. I abstraktet framgår det att behandling med prövningsläkemedlet tiratricol (Emcitate®) hos barn och vuxna patienter med MCT8-brist är förknippad med en ungefär tre gånger lägre risk för dödlighet jämfört med MCT8-bristpatienter som inte behandlats med tiratricol.

Denna retrospektiva internationella 'real world' kohortstudie undersökte effekterna av tiratricol på dödlighet av alla orsaker hos patienter med MCT8-brist. Genetiska, kliniska, biokemiska och behandlingsdata samlades in från 173 sjukhus i 48 länder genom ett internationellt konsortium om MCT8-brist, inklusive patienter som var med i Triac Trial I studien, en kohort av patienter som deltar i Managed Access Programmet med tiratricol, samt publicerade MCT8 fall i litteraturen. Totalt inkluderades 228 patienter i studien. Utgångsvärden mellan tiratricolbehandlade och obehandlade patienter var likartade, förutom att obehandlade patienter bodde mindre ofta i västländer (57 % jämfört med 78 %). Tiratricolbehandlade patienter hade en ungefär tre gånger lägre risk för dödlighet av alla orsaker (Hazardkvot= 0,28; 95 % konfidensintervall= 0,09–0,91; p-värde <0,05). Inga andra utgångsvärden påverkade signifikant överlevnaden eller effekten av tiratricolbehandling.

**Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics, kommenterade:** "MCT8-brist är en förödande sjukdom med en medianlivslängd på 35 år, stort medicinskt behov och ingen godkänd behandling. Det har redan visats att behandling med prövningsläkemedlet tiratricol lindrar tyreotoxikos genom att normalisera T3-koncentrationer och åtföljs av förväntad förbättring i kliniska variabler samt förbättringar i MCT8-bristrelaterade resultat som vårdgivare upplever, vilket utgjorde grunden för den redan inskickade ansökan om marknadsgodkännande (MAA) i EU. Dessa nya data om effekterna av tiratricolbehandling på överlevnad, med en uppskattad tre gånger lägre risk för dödlighet, visar ytterligare den kliniska vikten av att behandla kronisk tyreotoxikos som förekommer hos alla patienter med MCT8-brist. Detta bekräftades också nyligen i de nya ETA-riktlinjerna, som rekommenderar tiratricol som långtidsbehandling för alla patienter med MCT8-brist. Dödlighetsdata läggs till den totala bevisbasen för fördelarna med prövningsläkemedlet tiratricol, och vi planerar att dela dessa nya överlevnadsdata både med EMA och FDA. Vi ser fram emot att förhoppningsvis kunna tillhandahålla den första godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist."

Resultaten från studien kommer att presenteras som en muntlig presentation av Dr Floor van der Most den 8 september 2024 på European Thyroid Associations 46:e årliga konferens i Aten, Grekland.

Länk till abstraktet: [Van der Most, F. et al. T3 analogue Triiodothyroacetic acid \(Triac\) treatment and survival in MCT8 deficiency: an international real-world cohort study](#)

Länk till konferensprogrammet: <https://apps.m-anage.com/eta2024/en-GB/pag/presentation/673248>

**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  
+46 (0) 733 011 944  
karl.hard@egetis.com

**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.

Emcitate® (tiratricol) är Bolagets ledande 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 (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. Egetis ansökte om marknadsgodkännande för *Emcitate* till den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis kommer att uppdatera marknaden så snart rekryteringen har slutförts, och vid det tillfället informera om när topline resultat förväntas och när NDA-ansökan därav kan förväntas lämnas in.

*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.

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. Studiestart planeras efter att ansökningarna om marknadsgodkännande för *Emcitate* har fullbordats. *Aladote* har beviljats ODD i USA och EU.

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

**Bifogade filer**

---

[Nya data visar att behandling med tiratricol \(Emcitate®\) hos patienter med MCT8-brist är förknippad med ökad livslängd](#)

---