

Internationell retrospektiv kohortstudie publicerad om "de molekylära mekanismer som ligger bakom tiratricols effekt hos patienter med resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta)"

Stockholm, 16 oktober 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att den hittills största studien i patienter med resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta) som behandlats med tiratricol (triiodothyroacetic acid eller Triac) har publicerats (Liao, Marelli et al. 2026; [https://www.thelancet.com/journals/ebiom/article/PIIS2352-3964\(26\)00396-8/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/ebiom/article/PIIS2352-3964(26)00396-8/fulltext)). Studien ger en integrerad karakterisering av tiratricols kliniska effekt och underliggande molekylära verkningsmekanismer i patienter med RTH-beta.

Studien, som leddes av Erasmus Medical Center i Rotterdam, Nederländerna, omfattade 28 patienter i åldrarna 0,4 till 73 år med 18 olika mutationer i genen för sköldkörtelhormonreceptorn beta (*THRB*), behandlade vid sex centra i fyra länder. Medianbehandlingstiden var cirka fyra år (50 månader). Tiratricol sänkte nivåerna av tyreostimulerande hormon (TSH) och fritt tyroxin (FT4). Genomsnittlig FT4 minskade med 37 procent ($p < 0,0001$) och genomsnittlig TSH med 43 procent ($p < 0,0001$), samtidigt som hjärtfrekvensen minskade med 10 slag per minut ($p = 0,014$), vilket är känt för att vara associerat med minskad tyrotoxikos. Författarna drar slutsatsen att studien ger ytterligare stöd för rekommendationerna om behandling med tiratricol i riktlinjerna från European Thyroid Association och kan stödja framtida prospektiva kliniska studier.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis Therapeutics, kommenterade: "Vi är mycket nöjda att se att dessa viktiga data har publicerats i en ledande vetenskaplig tidskrift. Som den största retrospektiva studien av tiratricol hos patienter med RTH-beta som genomförts hittills ger resultaten värdefulla insikter om både de potentiella kliniska effekterna och den underliggande verkningsmekanismen för tiratricol över ett brett spektrum av *THRB*-mutationer. Tillsammans med det betydande uppfyllda medicinska behovet inom RTH-beta stärker resultaten ytterligare den vetenskapliga grunden för den fortsatta utvecklingen av tiratricol för denna patientgrupp."

Som tidigare kommunicerats pågår arbete inom Egetis för att slutföra utvecklingsplanen för tiratricol vid RTH-beta. Vetenskapliga rådgivande expertmöten har genomförts och förberedelser inför regulatoriska interaktioner pågår. RTH-beta är en separat indikation utan överlapp med patientpopulationen med MCT8-brist. Tiratricol är för närvarande inte godkänt för behandling av RTH-beta.

Om resistens mot sköldkörtelhormon beta

Resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta) är en sällsynt ärftlig sjukdom som orsakas av mutationer i *THRB*-genen, vilket leder till nedsatt signalering via sköldkörtelhormonreceptorn beta (TR-beta). RTH-beta förekommer i lika hög grad hos män och kvinnor. Till följd av störd TR-beta-medierad återkopplingsreglering av hypotalamus-hypofys-tyreoidea-axeln (HPT-axeln) uppvisar patienter förhöjda cirkulerande nivåer av sköldkörtelhormon, vilket leder till kliniska manifestationer som påverkar flera organsystem.

Patienter med RTH-beta kan uppvisa struma samt kardiovaskulära, metabola och neurokognitiva symtom. Nya data från oberoende patientkohortstudier tyder på ökad kardiovaskulär sjuklighet hos patienter med RTH-beta. Dessa studier rapporterar en kortare förväntad livslängd jämfört med den allmänna befolkningen, där högre koncentrationer av fritt tyreoidahormon T4 (FT4) har associerats med dödlighet och/eller allvarliga kardiovaskulära händelser.

Förekomsten av RTH-beta uppskattas till mellan 1 per 20 000 och 1 per 40 000 levande födda barn. Det finns för närvarande inga godkända behandlingar för RTH-beta, vilket innebär ett betydande ouppfyllt medicinskt behov. Tiratricol har erhållit sällläkemedelsstatus (Orphan Drug Designation) för behandling av RTH-beta både i USA och i Europeiska unionen.

Referens

Liao W, Marelli F, Moran C et al. *Molecular mechanisms underlying the effectiveness of triiodothyroacetic acid (Triac) in patients with resistance to thyroid hormone # (RTH#): a multicentre, international, retrospective cohort study*, [eBioMedicine 2026;133:106512](#).

Ansvarsfriskrivning

Erasmus Medical Center är licensgivare till Egetis och erhåller royaltybetalningar från Egetis. Vissa av författarna har även erhållit ersättning från Egetis. Egetis har inte haft något inflytande över studiens genomförande eller analys.

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett läkemedelsbolag i kommersiell fas med fokus på att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar där det finns betydande medicinska behov.

Genom att kombinera vetenskaplig och klinisk expertis med integrerade kompetenser inom sen klinisk utveckling, regulatoriska processer, kommersialisering och tillverkning är Egetis engagerat i att tillhandahålla behandlingar och dedikerat stöd till patientgrupper med stora medicinska behov och begränsade behandlingsalternativ.

Bolagets ledande produkt, EMCITATE® (tiratricol), är den första och enda godkända behandlingen för MCT8-brist, en sällsynt och livsförkortande genetisk sjukdom, med marknadsgodkännande i EU och i USA.

Med huvudkontor i Stockholm och verksamhet i USA och Europa bygger Egetis ett hållbart globalt läkemedelsbolag inom sällsynta sjukdomar.

För mer information, besök egetis.com och följ bolaget på LinkedIn.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, vd
+46 (0) 733 542 062
nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations, Communications & Business Development
+46 (0) 733 011 944
karl.hard@egetis.com

Bifogade filer

[Internationell retrospektiv kohortstudie publicerad om "de molekylära mekanismer som ligger bakom tiratricols effekt hos patienter med resistens mot sköldkörtelhormon beta \(RTH-beta\)"](#)