

## Egetis lämnar in svar på europeiska läkemedelsmyndigheten EMAs Dag 120 frågor för ansökan om marknadsgodkännande för tiratricol (Emcitate®)

**Stockholm, Sverige, den 14 augusti 2024.** Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att Bolaget har lämnat in svar på Dag 120 frågor som mottagits från europeiska läkemedelsmyndigheten EMA för ansökan om marknadsgodkännande (MAA) för tiratricol (Emcitate®) för behandling av MCT8-brist. Nästa förväntade steg i granskningsprocessen, listan med utestående frågor för Dag 180, förväntas i oktober 2024.

**Nicklas Westerholm, VD för Egetis Therapeutics, kommenterade:** "Att inom utsatt tid besvara EMAs Dag 120 frågor för vår ansökan om marknadsgodkännande för tiratricol (Emcitate®) är en viktig milstolpe för Egetis. Det finns för närvarande ingen godkänd behandling för patienter med MCT8-brist. Jag är glad att teamet på Egetis har kunnat besvara alla frågor från EMA, och vi ser fram emot att fortsätta dialogen med EMA i oktober."

**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 säräkemedelsområdet 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 säräkemedelsstatus ('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

---

[Egetis lämnar in svar på europeiska läkemedelsmyndigheten EMAs Dag 120 frågor för ansökan om marknadsgodkännande för tiratricol \(Emcitate®\)](#)