



PledPharma

PRESSMEDDELANDE

PledPharma AB

Stockholm 18 november 2020

Emcitate® beviljas Rare Pediatric Disease status av US FDA

Stockholm 18 november 2020. PledPharma AB (publ) (STO: PLED) meddelade i dag att amerikanska läkemedelsmyndigheten Food and Drug Administration (FDA) har beviljat bolagets ansökan om s k Rare Pediatric Disease-status (RPD) – inriktad på sällsynta barnsjukdomar - för dess ledande läkemedelskandidat Emcitate®, för behandling av MCT8-brist.

Emcitate ingår i PledPharmas projektportfölj efter förvärvet av Rare Thyroid Therapeutics (RTT) och är under utveckling för behandling av MCT8-brist, en ovanlig medfödd rubbning i kroppens transportsystem för sköldkörtelhormon, som medför allvarliga konsekvenser och där det idag inte finns någon behandling. Omkring 1 av 70 000 män drabbas av MCT8-brist. En framgångsrik fas IIb-studie har slutförts och en registreringsgrundande studie förväntas starta under Q4 2020. Emcitate har sällrökemedelsstatus (*Orphan Drug Designation*, ODD) i både EU och USA.

“Vi är mycket glada över att amerikanska FDA på detta sätt bekräftar allvaret med MCT8-brist och behovet av effektiva terapier för att behandla denna allvarliga sjukdom. Detta är ett värdefullt erkännande och vi ser fram emot att fortsätta arbeta med FDA och andra regulatoriska myndigheter för att ta Emcitate till marknaden som den första behandlingen av MCT8-brist.” säger Nicklas Westerholm, VD för PledPharma.

FDA beviljar RPD till behandlingar för allvarliga eller livshotande sjukdomar som främst drabbar barn från födseln upp till 18 år och som drabbar färre än 200 000 människor i USA. I samband med marknadsgodkännande kan sponsorer som har en RPD ansöka om en s k US Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV), som kan användas för att få en snabbare FDA-granskning av en ansökan för marknadsgodkännande för en annan läkemedelskandidat inom vilken indikation som helst, vilket förkortar tiden till lansering i USA. En PRV kan säljas eller överföras till en annan sponsor. Fram till slutet av 2019 hade FDA utfärdat 22 PRVs för s k Rare Pediatric Diseases där 12 har sålts till andra sponsorer, med individuella försäljningspriser från 67 miljoner dollar till 350 miljoner dollar. Enligt villkoren för PledPharmas förvärv av RTT ska 50% av den potentiella intäkten från en sådan försäljning av en PRV betalas till säljarna av RTT.

För mer information om ”Rare Pediatric Disease Designation och Voucher Program”, se <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/rare-pediatric-disease-priority-review-vouchers>.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD PledPharma

Tel. +46 (0)73 354 20 62

Email: nicklas.westerholm@pledpharma.se

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2020-11-18, 15:00 CET.



Om PledPharma

PledPharma är ett läkemedelsutvecklingsbolag med en unik och integrerad läkemedelsutvecklingskompetens som fokuserar på att förbättra behandlingen av allvarliga sjukdomstillstånd med stort medicinskt behov. 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 registreringsgrundade fas II/III-studie med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats genom diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sär-läkemedelsstatus i USA. Genom förvärvet av Rare Thyroid Therapeutics (RTT) inkluderar den kliniska portföljen även Emcitate[®], för behandling av MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov och ingen tillgänglig behandling. En registreringsgrundande interventionsstudie (fas IIb/III) planeras starta under Q4 2020. Emcitate har beviljats sär-läkemedelsstatus i USA och Europa. Fas III-programmet POLAR med läkemedelskandidaten PledOx[®] avbröts under andra kvartalet 2020 i förtid. Resultat från POLAR-programmet förväntas meddelas under fjärde kvartalet 2020 och kommer att ligga till grund för huruvida fortsatt utveckling av PledOx är motiverad, vilket i så fall planeras genom strategiska partnerskap. Bolaget planerar en namnändring till Egetis Therapeutics AB där beslut om antagande kommer att tas på en extra bolagsstämma den 11 december 2020.

PledPharma (STO: PLED) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista (STO:PLED), sedan 31 oktober 2019. För mer information, se www.pledpharma.se.

Om Emcitate[®]

Emcitate är en av PledPharmas ledande läkemedelskandidater i klinisk utveckling. Det behandlar MCT8-brist, som är en ovanlig medfödd rubbning i kroppens transportsystem för sköldkörtelhormon, som medför allvarliga konsekvenser och där det idag inte finns någon behandling. Omkring 1 av 70 000 män drabbas av MCT8-brist. En framgångsrik fas IIb-studie har slutförts och en registreringsgrundande studie förväntas starta under Q4 2020. Emcitate har sär-läkemedelsstatus (*Orphan Drug Designation*, ODD) i EU samt ODD och RPD i USA. En klinisk fas IIb-studie genomfördes med signifikanta och kliniskt relevanta effekter. En registreringsgrundande fas IIb / III-studie förväntas starta 2020.