

## ReTRIACt studiens design presenterades vid Annual Meeting of the European Society for Paediatric Endocrinology

**Stockholm, 25 september, 2023.** Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att ReTRIACt studiens design har presenterats som en poster vid 61st Annual Meeting of the European Society for Paediatric Endocrinology (ESPE 2023), som arrangerades i Haag, Nederländerna, 21-23 september, 2023. Hemmavård och patientbehov var viktiga aspekter i designen för att göra det så enkelt som möjligt för familjerna som deltar i studien. ReTRIACt-studien syftar till att studera effekterna av tiratricolbehandling vid MCT8-brist, vilket är en mycket sällsynt sjukdom som orsakar allvarliga funktionsnedsättningar. Amerikanska Food and Drug Administration (FDA) har klassat studien som pivotal för ansökan om marknadsgodkännande för tiratricol i USA.

Den patientcentrerade designen av ReTRIACt-studien har tagit hänsyn till utmaningarna med att inkludera patienter från små populationer som inte kan resa eller röra sig självständigt. Studien använder sig av specialiserade hemsjuksköterskor och hembaserad övervakningsteknik så att den främst kan genomföras i patienternas hem. De första patienterna inkluderades i studien under tredje kvartalet 2023 och den sista patienten beräknas inkluderas under 2023. Topline-resultat förväntas under första halvåret 2024.

**Nicklas Westerholm, VD på Egetis, kommenterade:** "Att studera sällsynta sjukdomar är en utmaning på grund av små patientpopulationer. För den sårbara patientpopulationen med MCT8-brist finns det ytterligare utmaningar orsakade av de funktionshinder som sjukdomen medför. Det var en prioritet för oss att ReTRIACt-studien utformades med att ha patienterna och deras vårdare i åtanke, i samarbete med en patientförening. Detta ledde till betoningen av hemmavård som borde göra det möjligt att inkludera fler patienter som också slutför studien, samtidigt som man undviker onödiga avbrott i deras livskvalitet. Data från ReTRIACt studien kommer att stödja vår ansökan om marknadsgodkännande för tiratricol i USA."

### Posterns titel:

Effects of tiratricol treatment withdrawal in monocarboxylate transporter 8 (MCT8) deficiency: ReTRIACt trial

### Författare:

M. Freund, K. Chatterjee, F. van der Most, D. Bowers, A. Persson, W. E. Visser, A. J. Bauer

Postern finns tillgänglig [här](#).

### 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 sällsynt läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

*Emcitate* 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. Som ett resultat av diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att ansöka om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA den 9 oktober 2023, baserat på befintliga kliniska data.

Efter dialog med FDA har Egetis påbörjat en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate* under mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

*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 sällsynt läkemedelsstatus (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

---

[ReTRIACt studiens design presenterades vid Annual Meeting of the European Society for Paediatric Endocrinology](#)