

Ny publikation påvisar betydelsefulla kliniska fördelar med Emcitate® (tiratricol) vid behandling av resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta)

Stockholm den 4 december 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag publiceringen av en vetenskaplig artikel som beskriver betydelsefulla kliniska fördelar av behandling med Emcitate® (tiratricol) hos patienter med resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta) i tidskriften *Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism*. Som tidigare kommunicerats har Egetis beslutat att utvärdera RTH-beta som nästa indikation för Emcitate® (tiratricol).

RTH-beta är en sällsynt medfödd genetisk sjukdom som orsakas av mutationer i en av de två subtyperna av sköldkörtelhormonreceptorer (TR), vilket leder till nedsatt hormonell signalering i de vävnader som påverkas. De kliniska manifestationerna av RTH-beta omfattar en kombination av symtom på tyreotoxikos och hypotyreos i olika vävnader, såsom struma, leversteatos och dyslipidemi, nedsatt hörsel och färgseende, neurokognitiv funktionsnedsättning och kardiovaskulär belastning. Förekomsten uppskattas till mellan 1 per 20 000–40 000 födda. För närvarande finns ingen godkänd behandling för patienter med RTH-beta.

Emcitate® (tiratricol) uppvisar högre affinitet till TR-beta-muterade sköldkörtelhormonreceptorer än det endogena trijodotyronin (T3)-hormonet och har visat förmåga att återställa signalering i modeller av TR-beta-mutationer *in vitro*. Emcitate® (tiratricol) erhöll sär läkemedelsstatus (orphan drug designation, ODD) för RTH-beta av både den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA och den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA år 2022. RTH-beta är en separat indikation, utan överlappning med patientgrupper med MCT8-brist, och utgör en långsiktig möjlighet för indikationsexpansion för Emcitate® (tiratricol). För närvarande är Emcitate® (tiratricol) inte godkänt för behandling av RTH-beta.

Denna oberoende, retrospektiva kohortstudie inkluderar 8 vuxna patienter med RTH-beta utformades för att utvärdera om behandling med Emcitate® (tiratricol) – benämnt TRIAC i artikeln – kan adressera de unika kliniska utmaningarna vid sjukdomen, där hypertyreos i vissa vävnader samexisterar med ett hormonresistent, hypotyroida tillstånd i andra organ. Patienterna utvärderades vid Storbritanniens National Institute for Health and Care Research (NIHR) både före och under behandling med Emcitate® (tiratricol). Ett validerat, patientrapporterat frågeformulär användes för att bedöma svårighetsgraden av tyreotoxiska symtom såsom nervositet, svettningar, värmeintolerans, hyperaktivitet, tremor, svaghet, takykardi, diarré, aptit samt påverkan på dagliga funktioner.

Studien visade att behandling med Emcitate® (tiratricol) lindrade hypertyreossymtom, sänkte basal energiförbrukning samt nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormoner, utan negativa effekter på leverns hormonrespons eller försämrad kardiovaskulär tyreomimetisk aktivitet. Behandlingen tolererades väl.

Referens: C. Moran, J. Martin-Grace, et al. TRIAC therapy relieves hyperthyroid symptoms, lowering T4, T3 and metabolic rate in Resistance to Thyroid Hormone beta. The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism, 2025, <https://doi.org/10.1210/clinem/dgaf583>.

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 sällläkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratrikol) har utvecklats som den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov. Egetis erhöll marknadsgodkännande för Emcitate® i EU i februari 2025 som den första och enda behandlingen för MCT8-brist. Egetis inledde lanseringen av Emcitate® i Tyskland den 1 maj 2025. Emcitate® (tiratricol) är inte godkänd i USA.

Bolaget har kommit överens med FDA om att lämna in en löpande NDA för Emcitate® (tiratricol), med start i december 2025, med målet att NDA-ansökan ska vara slutförd i början av 2026 så att FDA:s granskningsprocess ska slutföras under det tredje kvartalet 2026.

Baserat på feedback från FDA kommer NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist att baseras på redan tillgängliga kliniska data från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study och det amerikanska Expanded Access-programmet.

Tiratrikol har sällläkemedelsstatus ('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 Breakthrough Therapy Designation och Rare Pediatric Disease Designation (RPDD), vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande. I UK har Emcitate erhållit Promising Innovative Medicine status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Aladote® (calmangafodipir) 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 2/3 studie, Albatross, med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna i USA, EU och Storbritannien. Utvecklingsprogrammet för Aladote® har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för Emcitate® för MCT8-brist har fullbordats. Aladote® har beviljats ODD i USA och EU.

Egetis Therapeutics är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista (Nasdaq Stockholm: EGTXT).

För mer information, se www.egetis.com.



PRESSMEDDELANDE

04 december 2025 10:55:00 CET

Bifogade filer

[Ny publikation påvisar betydelsefulla kliniska fördelar med Emcitate® \(tiratricol\) vid behandling av resistens mot sköldkörtelhormon beta \(RTH-beta\)](#)