

Egetis belyser nyligen uppnådda betydande milstolpar, status på ReTRIACt studien samt ger en företagsuppdatering vid investerardagen i Stockholm idag

Stockholm den 19 december 2023. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) håller idag en investerardag i Stockholm.

Investerardagen kommer att innehålla presentationer av Dr Andrew Bauer från Children's Hospital of Philadelphia, om monocarboxylate transporter 8 (MCT8)-brist och det medicinska behovet, samt av Dr Carla Moran från University College Dublin, om en separat indikation kallad resistance to thyroid hormone beta (RTH-beta) och det medicinska behovet i denna sjukdom. Medlemmar från Egetis ledningsgrupp kommer att belysa de betydande framsteg som Egetis har gjort mot marknadsgodkännanden för *Emcitate* (tiratricol) inklusive en statusuppdatering på ReTRIACt studien, samt planerna för förberedande aktiviteter och kommersialisering med fokus på sjukdomsmedvetenhet, marknadsuttråde och värdeerbjudande. Nicklas Westerholm, VD på Egetis, kommer även att presentera Bolagets strategiska mål på kort sikt såväl som långsiktiga ambitioner.

De senaste månaderna har varit transformativa för Egetis. Nyligen uppnådda betydande milstolpar inkluderar ansökan om marknadsgodkännande för *Emcitate* för behandling av MCT8-brist i EU, vilken lämnades in den 9 oktober. Detta följdes av en kombinerad finansiering på 462 miljoner kronor, bestående av en riktad emission på 172 miljoner kronor (med premie) och en skuldfinansiering på 290 miljoner kronor, vilket tillkännagavs den 10 oktober. Den riktade emissionen på 172 miljoner kronor leddes av den amerikanska life-science investeraren Frazier Life Sciences, som investerade 155 miljoner kronor. Efterfrågan på de nya aktierna översteg avsevärt storleken på den riktade emissionen. Frazier Life Sciences har en historia av samarbete med vetenskapsdrivna företag inom hälso- och sjukvården och Egetis är nöjda att ha attraherat dem som en viktig ny strategisk aktieägare. Slutligen ingick företaget den 10 november ett exklusivt licensavtal med Fujimoto Pharmaceutical Corporation för att utveckla och kommersialisera *Emcitate* för behandling av MCT8-brist i Japan. Fujimoto kommer att finansiera den nödvändiga utvecklingen i Japan och ansvara för regulatoriska interaktioner. Egetis behåller en betydande andel, ungefär en tredjedel, av framtida intäkter i Japan.

Under investerardagen kommer Bolaget även att ge en uppdatering om ReTRIACt studien, vilken är beslutsgrundande för ansökan om marknadsgodkännande (NDA) i USA. Studien startades i slutet av juni 2023 på det första deltagande sjukhuset och den första patienten rekryterades i juli 2023. Hittills har ReTRIACt-studien rekryterat 7 patienter, av ett mål på 16 utvärderbara patienter, vid de två deltagande sjukhusen som aktivt rekryterat sedan juli och augusti. Ett ytterligare sjukhus började rekrytera i mitten av december och ett fjärde förväntas börja rekrytera i januari 2024. Det är 27 potentiella patienter identifierade för den återstående rekryteringen, av vilka 8 patienter står på behandling och 19 är behandlingsnaiva patienter. Som tidigare kommunicerats är det flera faktorer som påverkar slutförandet av ReTRIACt studien, såsom initiering av medverkande sjukhus och dess rekryteringskapacitet, medverkande patienters familjers möjlighet att resa för studien och andelen behandlingsnaiva patienter för vilka run-in perioden förväntas ta längre tid jämfört med patienter som redan står på behandling. Egetis har vidtagit åtgärder för att mitigera dessa faktorer och 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.

Det finns ett stort och ökande intresse från läkare över hela världen att behandla patienter som lider av MCT8-brist med *Emcitate*, och det förskrivs redan som en del av olika Managed Access Program till patienter i över 25 länder. Totalt behandlas nu över 190 patienter med *Emcitate* och allt fler patienter får tillgång till behandling, vilket är en bekräftelse på det medicinska behovet för dessa patienter. Bolaget har fokuserat sina aktiviteter på att förbättra sjukdomsmedvetenhet och diagnos, vilket lett till

deltagande och dialoger vid vetenskapliga konferenser, partnerskap med företag som gör genetiska tester för identifiering av patienter, engagemang med 'Key Opinion Leaders', rådgivande grupper och interaktioner med patientorganisationer. Detta har resulterat i att ytterligare 50 patienter med MCT8-brist identifierats i USA, vilka tidigare inte varit diagnostiserade eller kända för Bolaget.

Egetis strategi är att bygga ett företag inom sällsynta sjukdomar med långsiktigt fokus. För att uppnå detta finns det möjligheter att utvidga användningen av *Emcitate* till andra indikationer, såsom RTH-beta, som utgör en separat och ej överlappande patientpopulation jämfört med MCT8-brist. Som tidigare meddelats har Bolaget pausat den planerade fas-3 studien (Albatross) för *Aladote*, för förebyggande av akut leverskada orsakad av paracetamolförgiftning, tills de regulatoriska ansökningarna för *Emcitate* har slutförts. Dessutom utvärderar företaget även potentiella nya projekt som skulle passa in i dess strategi att utveckla produkter för sällsynta sjukdomar i sen utvecklingsfas för marknadsgodkännande och kommersialisering.

Nicklas Westerholm, VD på Egetis, kommenterade: *"De senaste månaderna har varit transformativa för Egetis. I juli rekryterade vi de första patienterna till den kliniska fas 3 studien ReTRIACt som är beslutsgrundande för ansökan om marknadsgodkännande (NDA) i USA. Hittills har vi rekryterat sju patienter till studien från två deltagande sjukhus som aktivt rekryterat under hösten. Det är lovande att se att ytterligare två sjukhus kommer att påbörja rekrytering, vilket förväntas leda till en snabbare rekrytering framöver. Vi 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. Jag är också nöjd över att vi i början av oktober lämnade in en ansökan om marknadsgodkännande (MAA) för *Emcitate* för behandling av MCT8-brist till den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Det gläder mig att vi har säkrat långsiktig finansiering och en ny strategisk aktieägare i Frazier Life Sciences. Slutligen, i november, ingick vi ett licensavtal för *Emcitate* i Japan med Fujimoto. Vi befinner oss nu i en god position för att fortsätta vårt arbete med att utveckla *Emcitate* till marknaden som den första behandlingen för patienter med MCT8-brist."*

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 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 EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis 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 den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

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 säräkemedelsstatus (ODD) i USA och EU.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis belyser nyligen uppnådda betydande milstolpar, status på ReTRIACt studien samt ger en företagsuppdatering vid investerardagen i Stockholm idag](#)