



PledPharma

PRESSMEDDELANDE

PledPharma AB

Stockholm, 7 december 2020

Första patienten doserad i fas IIb/III-studie med Emcitate®

Stockholm, 7 december 2020. PledPharma AB (publ) (STO: PLED) meddelade idag att den första patienten har doserats i den registreringsgrundande interventionsstudien (fas IIb/III) på barn med läkemedelskandidaten Emcitate, en ny terapi som utvecklats för att behandla MCT8-brist, en genetisk störning i kroppens transportsystem för sköldkörtelhormon som medför allvarlig livslång funktionsnedsättning.

Emcitate är under utveckling för behandling av MCT8-brist, en ovanlig medfödd störning i kroppens transportsystem för sköldkörtelhormon som medför allvarliga konsekvenser och livslång funktionsnedsättning där det idag inte finns någon behandling. Den registreringsgrundande fas IIb/III-studien är en internationell, öppen, multicenterstudie på mycket små barn med MCT8-brist som utförs vid tio kliniker i både Europa och Nordamerika. I studien planeras 12–22 barn i åldern 0–30 månader att delta, och dess utformning har diskuterats och förankrats med de regulatoriska myndigheterna European Medicines Agency (EMA) och US Food and Drug Administration (FDA).

Effektmåten i studien är förbättring av neurokognitiv utveckling, uppnående av motoriska milstolpar och normalisering av funktionstester för sköldkörtelhormon och markörer för tyrotokikos. Rekryteringen av patienter beräknas vara klar under andra halvåret 2021, med interimresultat 2022 som planeras att ligga till grund för marknadsgodkännande från myndigheter och kommersiell lansering.

“Vi ser en stor potential för Emcitate att vara till nytta för patienter med MCT8-brist där det inte finns någon tillgänglig behandling idag. Starten av denna studie bekräftar vårt åtagande att bygga ett företag specialiserat på utveckling av särläkemedel, vilket bildades när PledPharma förvärvade Rare Thyroid Therapeutics och är under namnändring till Egetis Therapeutics.”, säger PledPharmas VD Nicklas Westerholm.

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 2020-12-07, 9:30 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 särläkemedelsstatus 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) initierades under Q4 2020. Emcitate har beviljats särläkemedelsstatus 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. Företaget planerar ett namnbyte till Egetis Therapeutics i avvaktan på en resolution vid årsstämman den 11 december 2020.



PledPharma

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. Emcitate erhöll sär-läkemedelsstatus i EU 2017 och i USA 2017-2019. En s k US Rare Pediatric Disease-status (RPD) beviljades i november 2020. I samband med marknadsgodkännande kan sponsorer som har en RPD ansöka om en s k US Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV). En klinisk fas IIb-studie har framgångsrikt genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat. En registreringsgrundande interventionsstudie (fas IIb/III) startades under Q4 2020.