

Egetis betonar positivt CHMP-utlåtande för Emcitate[®], nyligen uppnådda betydande milstolpar och ger en bolagsuppdatering på investerardagen i Stockholm idag

Stockholm den 18 december 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) håller idag en investerardag i Stockholm. Programmet innehåller presentationer av Professor Edward Visser, Erasmus MC, Rotterdam, Nederländerna, om de senaste framstegen med tiratricol i monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist, och Professor Aled Rees, Cardiff University, Storbritannien, om resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH-beta), dess uppfyllda medicinska behov, och den potentiella möjligheten för Emcitate[®] i denna sjukdom.

Medlemmar från Egetis ledningsgrupp kommer att belysa de betydande framsteg som Egetis har gjort för att erhålla marknadsgodkännanden för Emcitate[®] (tiratricol), inklusive det positiva CHMP utlåtandet för Emcitate[®], en statusuppdatering på ReTRIAct studien, samt förberedande aktiviteter och kommersialiseringsplaner i EU. Nicklas Westerholm, VD på Egetis, kommer även att presentera Bolagets strategiska kortsiktiga mål samt långsiktiga ambitioner.

Vänligen följ denna länk för websändning (ingen förhandsanmälan behövs):

<https://www.redeye.se/events/1061014/egetis-therapeutics-investor-day>

Agenda (presentationerna hålls på engelska)

Time (CET /ET)	Subject	Presenter(s)
15:00/9. 00am	Welcome, CHMP opinion & corporate update	Nicklas Westerholm, CEO
15:10/9. 10am	MCT8 deficiency: recent advances with tiratricol	Prof. Edward Visser, Erasmus MC, NL
15:35/9. 35am	Q&A	Visser & Westerholm
15:45/9. 45am	Global launch preparations	Henrik Krook, Raymond Francot, Henna Oittinen-Corbinelli, Peter Verwaijen
16:20/10. 20am	Q&A	Krook, Francot, Oittinen-Corbinelli, Verwaijen, Westerholm
16:30/10. 30am	Break	
16:50/10. 50am	US regulatory pathway & ReTRIAct study	Westerholm

17:00/11. 00am	US opportunity for <i>Emcitate</i>	Anny Bedard, Ann-Marie Redmond
17:15/11. 15am	Q&A	Bedard, Redmond, Westerholm
17:25/11. 25am	RTH-beta and the unmet medical need	Prof. Aled Rees, Cardiff University, UK
17:50/11. 50am	Q&A	Rees & Westerholm
17:55/11. 55am	Concluding remarks	Mats Blom, Chairman of the Board
18:00/12. 00pm	Ends	

Nicklas Westerholm, VD på Egetis, kommenterade: "Rekommendationen från den Europeiska läkemedelsmyndigheten om att godkänna *Emcitate*® är den hittills viktigaste milstolpen i Egetis historia och ett stort steg framåt i vårt arbetet att bygga ett hållbart läkemedelsbolag inom sällsynta sjukdomar. Jag är mycket glad över att kunna dela med mig av våra framsteg och planer med investerare och analytiker idag och ser fram emot att kunna tillhandahålla den första godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist i EU, förutsatt att Europeiska kommissionen beviljar marknadsföringstillstånd."

Den 12 december 2024 rekommenderade den Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) godkännande av *Emcitate*®, avsett för behandling av MCT8-brist (1). Europeiska kommissionen, som beviljar centrala marknadsföringstillstånd inom Europeiska unionen (EU), kommer att granska CHMP:s rekommendation och förväntas fatta ett slutgiltigt beslut inom 67 dagar. Om det godkänns blir *Emcitate*® det första godkända läkemedlet för att behandla MCT8-brist.

Under bolagets investerardag kommer en uppdatering även att ges om framstegen i den pågående ReTRIACt-studien, som är beslutsgrundande för en New Drug Application (NDA) i USA. Hittills har 18 patienter inkluderats i studien, varav 8 patienter har avslutat den randomiserade fasen, 1 patient är i den randomiserade fasen och 4 patienter är i inledningsfasen. I januari planeras ytterligare 4 patienter för screening.

Intresset från läkare att behandla patienter som lider av MCT8-brist med *Emcitate*® (tiratricol) är fortsatt stort och växer stadigt. Läkemedlet förskrivs redan inom ramen för olika Managed Access Program till patienter i över 25 länder. Totalt behandlas nu cirka 230 patienter, och allt fler får tillgång till behandlingen.

Som en del av Egetis strategi att bygga ett hållbart läkemedelsbolag inom sällsynta sjukdomar undersöker bolaget även möjligheter att utöka användningen av *Emcitate*® till andra indikationer, såsom RTH-beta. Detta är en separat sjukdom med en icke-överlappande patientpopulation jämfört med MCT8-brist.

(1) https://www.egetis.com/sv/mfn_news/egetis-erhaller-positivt-chmp-utlatande-for-emcitate-tiratricol-for-behandling-av-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
+44 (0) 7500 525 084
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.

Bolagets ledande läkemedelskandidat tiratricol (Emcitate®) utvecklas som den potentiellt första godkända 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. I juni 2024 presenterades topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med tiratricol för behandling av MCT8-brist. Studien undersökte en möjlig ytterligare behandlingseffekt på neurokognitiv utveckling hos små barn yngre än 30 månader med MCT8-brist. Studien uppvisade inte statistiskt signifikant förbättring jämfört med historiska kontroller.

Den 12 december 2024 rekommenderade den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA godkännande av Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en randomiserad, placebokontrollerad, registreringsgrundande studie på minst 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Som tidigare kommunicerats kommer Bolaget att uppdatera marknaden så snart rekryteringen stängs och vid det tillfället kommer Bolaget även att informera när topline resultat förväntas och när Bolaget planerar att lämna in NDA ansökan.

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. I UK har *Emcitate* erhållit Promising Innovative Medicine (PIM) status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Calmangafodipir (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. Utvecklingsprogrammet för calmangafodipir har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för tiratricol för MCT8-brist har fullbordats. Calmangafodipir har beviljats ODD i USA och EU.

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



PRESSMEDDELANDE

18 december 2024 10:20:00 CET

Bifogade filer

[Egetis betonar positivt CHMP-utlåtande för Emcitate®, nyligen uppnådda betydande milstolpar och ger en bolagsuppdatering på investerardagen i Stockholm idag](#)