

## PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB  
Stockholm, 26 januari 2022

## Egetis säkrar villkorligt godkännande för Emcitate® som varumärke i USA

Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav i dag att bolaget har fått ett villkorligt godkännande från US Food and Drug Administration (FDA) för användningen av varumärket Emcitate® i USA. Företaget har tidigare fått motsvarande beteckning från European Medicines Agency för användning av Emcitate som varumärke i Europa. Detta är det bästa möjliga resultatet för att säkra ett globalt varumärke, och den slutliga godkännandeprocessen för användningen av varumärket Emcitate kommer att kopplas till den regulatoriska ansökan på respektive marknad.

Egetis Therapeutics avser att lämna in en ny läkemedelsansökan (*New Drug Application*, NDA) i USA för Emcitate för behandling av monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist i mitten av 2023 under den beviljade Fast Track-beteckningen.

*”Det gläder mig att våra förberedelser inför lanseringen löper enligt plan. Det är mycket positivt att även FDA stödjer varumärket Emcitate eftersom det är fördelaktigt att ha samma namn globalt. Det är dock viktigt att betona att vi, i enlighet med läkemedelslagstiftningen, inte kommer att marknadsföra Emcitate förrän marknadsföringstillstånd har beviljats. Det finns dock andra initiativ som vi driver redan nu i syfte att förbättra situationen för de som drabbats av MCT8-brist”,* säger Henrik Krook, VP Commercial Operations, Egetis Therapeutics.

*”Våra initiativ för att öka medvetenheten om sjukdomen kommer förhoppningsvis att bidra till att fler läkare förstår hur man diagnostiserar och hanterar MCT8-brist. Från och med i år kommer vi arrangera aktiviteter för att öka sjukdomsmedvetandet om MCT8-brist i samband med internationella kongresser inom neurologi och endokrinologi utöver en växande digital närvaro genom olika kanaler, som exempelvis vår redan etablerade plattform [www.mct8deficiency.com](http://www.mct8deficiency.com)”,* fortsätter han.

Ett av initiativen för att öka medvetenheten om MCT8-brist som företaget lanserade under 2021, ”Cuddly Toy”-kampanjen, har nominerats till prestigefyllda Pharmaceutical Marketing Society Awards i kategorin bästa kampanj för att öka medvetenheten om sjukdom bland sjukvårdspersonal. Prisutdelningen kommer att hållas i London under mars 2022.

### För ytterligare information, kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics  
Tel. +46 (0)73 354 20 62  
E-post: [nicklas.westerholm@egetis.com](mailto:nicklas.westerholm@egetis.com)

*Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2022-01-26, 08:00 CET.*

# EGETIS THERAPEUTICS

## Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett innovativt, unikt och integrerat läkemedelsutvecklingsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sällsynt läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov. Emcitate är en 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. Triac Trial I (klinisk fas IIb-studie) samt en präklinisk kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på T3-nivåer och sekundära kliniska effektmått. Triac Trial II är en pågående studie i mycket unga patienter (<30 månader gamla) med MCT8-brist för att ytterligare befästa neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate, vilka sågs redan i Triac Trial I. Resultat förväntas under första kvartalet 2024. Egetis planerar att lämna in ansökan om marknadsgodkännande för Emcitate® till den europeiska läkemedelsmyndigheten baserat på befintliga kliniska data. Innan en ansökan om ett marknadsgodkännande i USA, planerat till mitten av 2023, kommer bolaget att genomföra en randomiserad, placebo-kontrollerad studie i 16 patienter för att verifiera de tidigare publicerade resultaten på T3-nivåer. Emcitate har sällsynt läkemedelsstatus i USA och Europa. Emcitate har beviljats Rare Pediatric Disease-status och Fast Track Designation i USA. 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 registreringsgrundande fas II/III-studie med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sällsynt läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sällsynt läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021. Egetis har en pågående dialog med EMA om lämplig indikation för ODD i EU. Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista, sedan 31 oktober 2019. För mer information, se [www.egetis.com](http://www.egetis.com).

## Om MCT8-brist

MCT8-brist är en ovanlig sjukdom som drabbar 1 av 70 000 män med betydande medicinskt behov där det idag inte finns någon behandling. Sköldkörtelhormoner är essentiella för utveckling och kontroll av metabolismen i de flesta typer av vävnader, vilket kräver transport över cellmembran. En av nyckeltransportörerna av sköldkörtelhormon i kroppen över cellmembran är MCT8 (monokarboxylattransportör 8). Mutationer i genen för MCT8, som sitter på X-kromosomen, leder till MCT8-brist, även kallat Allan Herndon Dudley Syndrome (AHDS), vilket enbart drabbar män. MCT8-brist leder till problem med transport av sköldkörtelhormon till olika typer av celler inklusive hjärnan och dess nervceller samt sköldkörtelhormonrubbningar. Avsaknad av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet leder till kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning. De ökade nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormon är skadligt för andra organ som hjärta, muskler, lever och njurar vilket leder till kraftigt nedsatt kroppsvikt, kardiovaskulär påverkan, sömnbrist och muskelbrist. De flesta patienter med MCT8-brist uppnår inte basala motoriska färdigheter såsom att hålla sitt eget huvud eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist.