

Egetis tillkännager detaljerad design för liten, randomiserad, placebokontrollerad studie för *Emcitate* för marknadsföringsansökan i USA

Stockholm, 17 oktober, 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTIX) tillkännagav idag detaljerad design för en liten, randomiserad, placebokontrollerad studie för *Emcitate* för marknadsföringsansökan (NDA) i USA. *Emcitate* är Egetis ledande läkemedelskandidat som utvecklas för behandling av patienter som lider av monokarboxylattransportör 8 (MCT8) brist.

Aktiviteter pågår för att stödja inlämning av en marknadsföringsansökan (MAA) till den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) under första halvåret 2023, baserat på redan tillgängliga kliniska data. En NDA till den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA) planeras för mitten av 2023 under den 'Fast Track Designation' som beviljats av FDA. Som tidigare kommunicerats kräver FDA för NDA ansökan en liten, randomiserad, placebokontrollerad studie med 16 patienter och upp till 30 dagars behandlingstid med antingen *Emcitate* eller placebo för att verifiera resultaten av sköldkörtelhormon T3-nivåer som observerats i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Utformningen av studien har godkänts av FDA och är nu tillgänglig på www.clinicaltrials.gov med koden NCT05579327. Studien kommer att påbörjas under den kommande månaden.

Nicklas Westerholm, Egetis VD, sade: "Det gläder mig att rapportera våra framsteg för en marknadsföringsansökan för *Emcitate* i EU under första halvåret 2023 och i USA i mitten av 2023 under Fast Track Designation som beviljats av FDA. För ansökan i USA kommer vi att initiera den randomiserade, placebokontrollerade studien med 16 patienter, så snart som möjligt, efter att vi nu har kommit överens med FDA om studiedesignen. Samtidigt fortsätter vi den stegvisa uppbyggnaden av en kommersiell infrastruktur i Europa och USA."

Om den randomiserade placebokontrollerade studien för *Emcitates* marknadsföringsansökan i USA (ReTRIAct)

Detta är en dubbelblind, randomiserad fas 3 multicenter placebokontrollerad studie på minst 16 manliga deltagare diagnostiserade med MCT8-brist. Deltagare, från 4 års ålder och som har visat stabil underhållsbehandling med *Emcitate*, kommer att randomiseras till placebo eller *Emcitate* i 30 dagar eller tills de når räddningskriteriet (serum totalt trijodtyronin [T3] > övre normalgräns [ULN] på deltagarens normala intervall, för ett prov som samlats in under den 30-dagars randomiserade behandlingsperioden). Det primära effektmåttet är andelen deltagare i placebogruppen, jämfört med de som fortsätter att få *Emcitate*, för vilka avlägsnande av *Emcitate* leder till en ökning av den totala T3-koncentrationen i serum över ULN.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD
+46 (0) 733 542 062
nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations & Communications
+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 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. En klinisk fas IIb-studie (Triac Trial I) samt en kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på serum T3-halter och kliniskt relevanta sekundära effektmått. Som ett resultat av gynnsamma diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att ansöka om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA under första halvåret 2023, baserat på befintliga kliniska data. I USA kommer Egetis efter dialog med FDA att genomföra en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att lämna in en NDA i USA för *Emcitate* i mitten av 2023 under den 'Fast Track Designation' som beviljats av FDA. Triac Trial II är en fullt rekryterad studie på mycket unga patienter med MCT8-brist (<30 månader gamla) som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate*. Rekryteringsmålet uppnåddes i andra kvartalet 2022 där 22 patienter nu har inkluderats. Resultat förväntas under första halvåret 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknadsgodkännande erhållits.

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 utan överlapp i patientpopulationerna. 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 utvecklats 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 med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA, Storbritannien) och studiestart planeras senare under 2022. *Aladote* har beviljats 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 tillkännager detaljerad design för liten, randomiserad, placebokontrollerad studie för *Emcitate* för marknadsföringsansökan i USA](#)