

Egetis tillkännager EMA validering av ansökan om marknadsgodkännande (MAA) för Emcitate för behandling av MCT8-brist

Stockholm den 27 oktober 2023. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att Bolagets ansökan om marknadsgodkännande (MAA) för Emcitate (tiratricol) för behandling av MCT8-brist hos den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har validerats. Den 9 oktober 2023 tillkännagav Egetis att Bolaget har ansökt om marknadsgodkännande för Emcitate. EMA utför en validering av de ansökningar som tas emot. Målet är att granska att alla väsentliga regulatoriska element som krävs för en vetenskaplig bedömning ingår i ansökan innan granskningsförfarandet påbörjas. Emcitates MAA är från och med den 26 oktober 2023 under granskning av EMA:s kommitté för humanläkemedel (CHMP).

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 sällsynt läkemedelsområdet 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 har Egetis påbörjat 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 mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

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.

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 sällsynt läkemedelsstatus (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 EMA validering av ansökan om marknadsgodkännande \(MAA\) för *Emcitate* för behandling av MCT8-brist](#)