

Egetis har beslutat att utvärdera RTH-beta som nästa indikation för tiratricol (Emcitate®)

Stockholm den 4 december 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att bolaget har valt resistens mot sköldkörtelhormon beta (RTH β) som nästa indikation för läkemedelskandidaten tiratricol (Emcitate®). Bolaget planerar att stödja en prövarinitierad fas 2 multicenterstudie för patienter med RTH β i samarbete med akademiska forskningsgrupper.

RTH β är en sällsynt genetisk sjukdom med stort ouppfyllt medicinskt behov och saknar idag godkända behandlingar. Sjukdomen drabbar 1–2 individer per 40 000 levande födselar och orsakas av mutationer i genen för sköldkörtelhormonreceptor beta. Sköldkörtelhormon är avgörande för utveckling och ämnesomsättning i praktiskt taget alla vävnader och verkar genom att binda till nukleära sköldkörtelhormonreceptorer, vilket resulterar i transkription av hormon känsliga gener. Det finns två huvudsakliga typer av sköldkörtelhormonreceptorer i kroppen (alfa och beta) som uttrycks i olika vävnader. Vid RTH β påverkas hormonets signalering i vävnader som är beroende av betareceptorn. Sjukdomen drabbar kvinnor och män i lika hög grad. De kliniska symtomen vid RTH β utgörs av både tyreotoxikos- och hypothyreosymtom beroende på vävnadstyp, såsom struma, fettlever och dyslipidemi, försämrad hörsel och färgseende, neurokognitiv dysfunktion samt kardiovaskulär stress. Nyligen har det påvisats att patienter med RTH β har minskad överlevnad och ökad risk för hjärt-kärlsjukdomar (Okosieme et al. 2023, Campi et al. 2024).

RTH β är en fristående indikation, utan överlappning av patientgruppen med MCT8-brist. År 2022 erhöll Egetis sär läkemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) för RTH β för tiratricol (Emcitate®) i både USA och EU. Den 18 december 2024 kommer Egetis, under Bolagets Investerar dag, att hålla en presentation om RTH β och de ouppfyllda medicinska behoven.

Ytterligare information om specifika planer för att utveckla tiratricol för RTH β kommer att kommuniceras när dessa är färdigställda.

Referenser:

1. Okosieme, O. et al. 2023. Cardiovascular morbidity and mortality in patients in Wales, UK with resistance to thyroid hormone β (RTH β): a linked-record cohort study. *Lancet Diabetes Endocrinol.* 11(9):657-666
2. Campi, I. et al. 2024. Increased cardiovascular morbidity and reduced life expectancy in a large Italian cohort of patients with resistance to thyroid hormone β (RTH β). *Eur J Endocrinol.* 191(4):407-415

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

EGETIS THERAPEUTICS

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.

Egetis ansökte om marknadsgodkännande för Emcitate till EMA i oktober 2023.

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.