

## Egetis rapporterar topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist

- Triac Trial II designades för att undersöka en möjlig ytterligare behandlingseffekt på neurokognitiv utveckling hos små barn yngre än 30 månader med MCT8-brist. Studien inkluderade 22 patienter som behandlades med Emcitate® (tiratricol) under 96 veckor i högre doser per kg kroppsvikt jämfört med Triac Trial I.
- Numeriska förbättringar observerades jämfört med utgångsvärdena på de primära effektmålen för neurokognitiv utveckling som utvärderades med skalorna GMFM-88 och BSID-III, men uppvisade inte statistiskt signifikant förbättring jämfört med historiska kontroller.
- Studien bekräftade att behandling med Emcitate® (tiratricol) ger signifikant och varaktig minskning av endogena T3-koncentrationer hos alla patienter och den gynnsamma säkerhetsprofilen av tiratricol som setts i tidigare kliniska studier, trots högre dosering per kg kroppsvikt.
- Enligt överenskommelse med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) är Triac Trial II studien komplementär till de data som redan har lämnats in och validerats i ansökan om marknadsföringstillstånd för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist i EU, vilken baseras på de redan demonstrerade behandlingseffekterna på T3-koncentrationer och kronisk tyreotoxikos hos patienter i alla åldrar. Resultaten från Triac Trial II kommer att inkluderas i svaret på EMAs 120-dagars frågor som kommer lämnas in i augusti 2024.
- Den kommande ansökan om marknadsföringstillstånd (NDA) i USA kommer även den att baseras på de redan observerade behandlingseffekterna på T3-koncentrationer och manifestationerna av kronisk tyreotoxikos tillsammans med resultat från den pågående ReTRIACT-studien, enligt överenskommelse med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA.
- Bolaget anser inte att sannolikheten för godkännande av Emcitate för behandling av MCT8 brist påverkas av resultaten från Triac Trial II och de regulatoriska tidslinjerna bedöms oförändrade.
- En webcast och telefonkonferens för analytiker och investerare kommer att hållas imorgon torsdag den 20 juni kl. 08:00 (CEST).

**Stockholm, Sverige, 19 juni 2024.** Egetis Therapeutics AB (publ) (**"Egetis"** eller **"Bolaget"**) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att kliniska prövningen Triac Trial II med läkemedelskandidaten Emcitate® (tiratricol) för behandling av monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist, hos unga patienter som var yngre än 30 månader vid studiens start, inte uppnådde sina primära effektmål. De primära effektmålen utvärderades som förändringar i "Total Score" för Gross Motor Function Measure (GMFM)-88 och "Gross Motor Skills" domänen i Bayley Scales for Infant and Toddler Development (BSID)-III, jämfört med data från historiska kontroller från Triac Trial I. Bland de viktigaste sekundära effektmåtten minskade de totala sköldkörtelhormon T3-koncentrationerna i serum signifikant och varaktigt hos alla patienter, vilket bekräftar tiratricols förmåga att lindra tyreotoxikos vid MCT8-brist.

Studien bekräftade vidare den gynnsamma säkerhetsprofil som setts i tidigare kliniska studier, trots högre dosering per kg kroppsvikt jämfört med tidigare studier.

**Huvudprövaren för Triac Trial II, Professor Dr W. Edward Visser vid Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, kommenterade:** "Vår forskningshypotes när vi designade Triac Trial II, som grundade sig på prekliniska data och på initiala resultat vi observerade i Triac Trial I, var att undersöka om unga patienter med MCT8-brist kan få förbättrad neurokognitiv utveckling om behandlingen med tiratricol påbörjas tidigt. Tyvärr visade studien inte en kliniskt relevant och statistiskt signifikant förbättring av de primära neurokognitiva effektmåtten, men studien bekräftade effekterna av tiratricol vad gäller att reducera T3-koncentrationer, vilket är relevant för att lindra manifestationerna av tyreotoxikos hos patienter med MCT8-brist, oavsett ålder."

**Nicklas Westerholm, VD för Egetis, kommenterade:** "Säkerheten och tolerabiliteten för Emcitate® (tiratricol) är betryggande också när den ges till unga individer i relativt höga doser, även om vi tyvärr inte nådde de primära effektmålen i Triac Trial II. Effekterna på den kroniska perifera tyreotoxikosen som redan demonstrerats i tidigare studier innebär viktiga kliniska förbättringar för patienter i alla åldrar som lider av denna allvarliga sjukdom och vi är fortsatt övertygade om att tiratricol kommer att bli den första godkända behandlingen för MCT8-brist och de regulatoriska tidslinjerna är oförändrade. Vi vill tacka patienterna, deras familjer och sjukhusen som har deltagit i Triac Trial II."

Data från studien kommer att presenteras vid en kommande medicinsk konferens, skickas in till en peer-reviewed medicinsk tidskrift och delas med regulatoriska myndigheter.

Enligt överenskommelse med EMA, baseras ett regulatoriskt godkännande för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8 brist på behandlingseffekter på T3-koncentrationer och manifestationer av kronisk tyreotoxikos, vilka demonstrerats i tidigare kliniska studier. Detta reflekterades i den ansökan om marknadsföringstillstånd i EU, som lämnades in och validerades i oktober 2023. Resultat från Triac Trial II kommer att inkluderas i svaret på EMAs 120-dagars frågor som kommer att lämnas in i augusti 2024.

Den kommande ansökan om marknadsföringstillstånd i USA kommer även den att baseras på de redan observerade behandlingseffekterna på T3-koncentrationer och manifestationer av kronisk tyreotoxikos tillsammans med resultat från den pågående ReTRIACt-studien, enligt överenskommelse med FDA.

Tidslinjen för regulatorisk granskning och godkännande i EU bedöms vara oförändrad. För USA kommer Bolaget, som tidigare kommunicerats, att uppdatera marknaden med avseende på tidslinjer för NDA-ansökan så snart 16 utvärderbara patienter har avslutat den pågående ReTRIACt-studien.

### **Webcast och telefonkonferens 20 juni klockan 08:00 (CEST)**

Om du önskar delta via webcasten gå in på nedan länk. Via webcasten finns möjlighet att ställa skriftliga frågor.

<https://ir.financialhearings.com/egetis-press-conference-june-2024/register>

Om du önskar ställa muntliga frågor via telefonkonferens registrerar du dig via länken nedan. Efter registreringen får du telefonnummer och ett konferens-ID för att logga in till konferensen. Via telefonkonferensen finns möjlighet att ställa muntliga frågor.

<https://conference.financialhearings.com/teleconference/?id=5007609>

### **Om Triac Trial II**

Triac Trial II genomfördes på patienter med MCT8-brist, även kallad Allan-Herndon-Dudley Syndrom (AHDS). Prekliniska studier har visat att T3-analogen tiratricol transporteras in i celler på ett MCT8-oberoende sätt. I djurmodeller som efterliknar MCT8-brist har tiratricol visat sig normalisera hjärnutvecklingen om det administreras under tidig postnatal period. Triac Trial I (NCT02060474) har visat att behandling med tiratricol hos patienter med MCT8-brist förbättrar viktiga kliniska och biokemiska egenskaper orsakade av de toxiska effekterna av de höga T3-koncentrationerna. Inga läkemedelsrelaterade allvarliga biverkningar förekom under Triac Trial I.

Triac Trial II undersökte effekten av behandling med tiratricol hos unga pojkar ( $\leq 30$  månader) med MCT8-brist. Hypotesen som testades var att behandling med tiratricol skulle ha en fördelaktig effekt på hypothyreostillståndet i hjärnan samt hypertyreostillståndet i perifera organ och vävnader hos dessa patienter. Patienter behandlades initialt i 96 veckor med tiratricol, och behandlingseffekten utvärderades efter 96 veckor. Efter 96-veckors behandlingsperiod kunde patienterna gå in i del II av studien, där patienterna kommer att följas under ytterligare 2 år, och behandlingseffekten kommer att utvärderas efter respektive 3 och 4 år från påbörjad behandling.

För mer information om Triac Trial II, vänligen se <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02396459>

### **Om MCT8 -brist**

MCT8-brist är en mycket sällsynt sjukdom 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 främst 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 upp huvudet eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist.

För mer information om MCT8-brist, vänligen se [www.mct8deficiency.com](http://www.mct8deficiency.com)

### **För ytterligare information, vänligen kontakta:**

---

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

Karl Hård, Head of Investor Relations & Business Development  
+46 (0) 733 011 944  
[karl.hard@egetis.com](mailto:karl.hard@egetis.com)

*Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2024-06-19 18:50 CEST.*

## 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® (tiratricol) 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 den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis kommer att uppdatera marknaden så snart rekryteringen har slutförts, och vid det tillfället informera om när topline resultat förväntas och när NDA-ansökan därav kan förväntas lämnas in.

*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 ODD i USA och EU.

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

## Bifogade filer

---

[Egetis rapporterar topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med Emcitate® \(tiratricol\) för behandling av MCT8-brist](#)