

Egetis uppdaterar om framsteg för NDA-ansökan för tiratricol i USA

- FDA beviljade tiratricol Breakthrough Therapy Designation (BTD) i juli 2025, baserat på myndighetens granskning av Egetis analys av överlevnadsdata från den internationella real-life kohortstudien vid Erasmus University Medical Center
- Det finns 15 utvärderingsbara patienter i ReTRIACt-studien
- I ljuset av ovanstående har Egetis ansökt om ett pre-NDA-möte med FDA för att diskutera innehåll och tidplan för NDA-ansökan i USA, inklusive roll och position för ReTRIACt-studien
- Bolaget planerar att påbörja inlämningen av NDA-ansökan för tiratricol till FDA under 2025

Stockholm den 18 augusti 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att bolaget har skickat in en begäran om pre-NDA-möte (Type B) till den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för att diskutera innehåll och tidplan för NDA-ansökan för tiratricol i USA, inklusive roll och position för ReTRIACt-studien, mot bakgrund av den Breakthrough Therapy Designation (BTD) som FDA beviljade den 15 juli 2025. En BTD beviljas till program som visat preliminära kliniska bevis på en meningsfull förbättring av centrala kliniska symtom jämfört med befintliga behandlingar.

Egetis gav idag även en uppdatering om rekryteringsstatus för ReTRIACt-studien (clinicaltrials.gov identifier NCT05579327), som är en placebokontrollerad utsättningsstudie av tiratricol hos patienter med MCT8-brist. Det finns 15 utvärderingsbara patienter i studien. Bolaget planerar att påbörja inlämningen av NDA-ansökan till FDA under 2025.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis, kommenterade:

"De kliniskt meningsfulla resultaten från behandling av patienter med MCT8-brist med tiratricol uppmärksammades av FDA genom den Breakthrough Therapy Designation (BTD) som beviljades i juli i år ([länk till pressmeddelande](#)). BTD beviljades baserat på myndighetens granskning av Egetis detaljerade analys av överlevnadsdata från den internationella real-life kohortstudien vid Erasmus University Medical Center (för preliminära resultat, se abstract i Ref. 1), som visade en tydlig och betydande förbättring av överlevnaden hos patienter behandlade med tiratricol jämfört med obehandlade patienter. Att få en BTD så sent i ett kliniskt utvecklingsprogram är mycket uppmuntrande för den kommande NDA-processen, eftersom dessa BTD vanligtvis ges i ett tidigt utvecklingsskede.

"Vi har ansökt om ett pre-NDA-möte med FDA och ser fram emot att diskutera NDA-ansökan för tiratricol med myndigheten, för att så snart som möjligt kunna erbjuda denna potentiella behandling även till patienter i USA. Behandling med tiratricol vid MCT8-brist ingår redan i de kliniska riktlinjerna från European Thyroid Association (Ref. 2) och Emcitate® (tiratricol) godkändes som behandling för MCT8-brist i EU i februari 2025."

1: van der Most, F. et al. 2024 <https://www.endocrine-abstracts.org/ea/0101/ea0101op-03-04>

2: Persani, L. et al. 2024 <https://etj.bioscientifica.com/view/journals/etj/13/4/ETJ-24-0125.xml>



PRESSMEDDELANDE

18 augusti 2025 08:30:00 CEST

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 läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratricol) utvecklas som den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov. Egetis erhöll marknadsgodkännande för Emcitate i EU den 13 februari 2025 och Egetis lanserade Emcitate i det första landet, Tyskland, den 1 maj 2025.

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 under 2025.

Tiratricol har Breakthrough Therapy Designation i USA och 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 tiratricol även beviljats Rare Pediatric Disease Designation (RPDD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande. I UK har tiratricol erhållit Promising Innovative Medicine status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Aladote® (calmangafodipir) 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 2/3 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 Emcitate för MCT8-brist har fullbordats. Calmangafodipir har beviljats ODD i USA och EU.

Egetis Therapeutics (Nasdaq Stockholm: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis uppdaterar om framsteg för NDA-ansökan för tiratricol i USA](#)