

Egetis tillkännager inkludering av första patient och aktivering av andra deltagande sjukhus i den registreringsgrundande ReTRIACt studien

Stockholm, 24 juli 2023. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att den första patienten har inkluderats och det andra deltagande sjukhuset har aktiverats i den registreringsgrundande ReTRIACt studien för ansökan om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate*. Studien kommer att genomföras på tre deltagande sjukhus: Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna; Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, PA, USA; och Addenbrooke's Hospital, Cambridge, Storbritannien. Som tidigare rapporterats förväntar sig Bolaget resultat från ReTRIACt-studien under första halvåret 2024 och uppskattar en marknadsföringsansökan i USA i mitten av 2024, under 'Fast-Track Designation'.

Nicklas Westerholm, VD för Egetis, kommenterade: "Det gläder mig att den första patienten har inkluderats och att vi nu har två aktiva deltagande sjukhus i ReTRIACt-studien för *Emcitate*. Studien är registreringsgrundande för den kommande marknadsföringsansökan i USA. Dessa är viktiga milstolpar för Bolaget, och jag vill tacka prövarna, patienterna och föräldrarna/vårdnadshavarna för deras åtaganden att delta i denna studie, som är avgörande för att ge patienter i USA tillgång till den första möjliga behandlingen för MCT8-brist. Vi fortsätter vårt intensiva arbete tillsammans med de deltagande sjukhusen för att möjliggöra ett så effektivt genomförande av ReTRIACt studien som möjligt. I Europa ser jag fram emot inlämnandet av en marknadsföringsansökan för *Emcitate* under tidig höst 2023, i linje med vad som tidigare kommunicerats."

Om ReTRIACt studien

ReTRIACt studien (clinicaltrials.gov identifier NCT05579327) är en dubbelblind, randomiserad fas 3 multicenter placebokontrollerad studie på 16 manliga deltagare diagnostiserade med MCT8-brist. Studieprotokollet inleds med en öppen behandlingsperiod där en stabil underhållsdos av tiratricol, nödvändig för progression in i den randomiserade behandlingsperioden, kommer att fastställas. Längden på den initiala öppna behandlingsperioden kommer att variera beroende på om deltagare behandlas med tiratricol vid tidpunkten för inskrivningen i studien (Kohort A), eller om deltagare anses vara behandlingsnaiva med tiratricol (Kohort B). Deltagare anses vara tiratricol-naiva om de aldrig tidigare har fått tiratricol, eller tidigare har fått tiratricol men inte får tiratricol vid tidpunkten för inskrivningen. Deltagare, från 4 års ålder och som har visat stabil underhållsbehandling med tiratricol, kommer att randomiseras till placebo eller tiratricol 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 tiratricol, för vilka avlägsnande av tiratricol leder till en ökning av den totala T3-koncentrationen i serum över ULN.

För ytterligare information, vänligen kontakta

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

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

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 vår ledande läkemedelskandidat som utvecklas som den potentiellt första behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort ouppfyllt 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. Som ett resultat av diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att ansöka om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA under tidig höst 2023, baserat på befintliga kliniska data.

Efter dialog med FDA kommer Egetis 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 ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate* under mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat. Den pågående Triac Trial II studien inkluderade 22 unga pojkar med MCT8-brist (<30 månader gamla) och undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate*. Resultat förväntas i mitten av 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter som ett supplement 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 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. Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis tillkännager inkludering av första patient och aktivering av andra deltagande sjukhus i den registreringsgrundande ReTRIACt studien](#)