

Tiratricol beviljas sär läkemedelsstatus för MCT8-brist i Japan

Stockholm, 31 augusti, 2026. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att dess partner Fujimoto Pharmaceutical Corporation, som innehar en exklusiv licens för att utveckla och kommersialisera Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist i Japan, har beviljats sär läkemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) för tiratricol vid MCT8-brist av Japans hälso-, arbetsmarknads- och välfärdsministerium (Ministry of Health, Labour and Welfare).

En av fördelarna med sär läkemedelsstatus i Japan är att en ansökan om marknads godkännande blir berättigad till prioriterad granskning, vilket kan förkorta granskningstiden från cirka tolv till nio månader. Sär läkemedelsstatus medför även en förlängning av marknads exklusiviteten till tio år.

Emcitate (tiratricol) har också erhållit sär läkemedelsstatus för behandling av MCT8-brist i USA och EU.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

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

Karl Hård, Head of Investor Relations, Communications & 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 och kommersialisering inom sällläkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratrikol) har utvecklats 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 i februari 2025 som den första och enda behandlingen för MCT8-brist. Egetis inledde lanseringen av Emcitate® i Tyskland den 1 maj 2025. EU produktinformation kan fås via produktresumén [här](#).

Den 27 mars 2026 meddelade Egetis att FDA har accepterat Bolagets NDA för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist. Ansökan har beviljats prioriterad granskning (Priority Review) och tilldelats ett måldatum enligt Prescription Drug User Fee Act (PDUFA), vilket utgör FDA:s beslutsdatum, den 28 september 2026. Emcitate® (tiratricol) är inte godkänd i USA.

NDA:n för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist baseras på kliniska data från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIACt, EMC Cohort Study, EMC Survival Study och det amerikanska Expanded Access-programmet.

Tiratrikol har sällläkemedelsstatus ('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 Breakthrough Therapy Designation och 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 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 Aladote® har parkerats. Aladote® har beviljats ODD i USA och EU.

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

Framåtblickande uttalanden

Detta pressmeddelande innehåller framåtblickande uttalanden i den mening som avses i tillämplig värdepapperslagstiftning, inklusive uttalanden avseende kommersialiseringen och tillgängligheten av Emcitate® (tiratricol) i USA, tidpunkten för och utfallet av en eventuell monetisering av Priority Review Voucher för sällsynta pediatrika sjukdomar (Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher), den förväntade kapaciteten i Bolagets infrastruktur för patientåtkomst och distribution, de förväntade fördelarna med Emcitate för patienter med MCT8-brist samt Bolagets övergripande strategiska planer för utveckling och kommersialisering av behandlingar för sällsynta sjukdomar. Framåtblickande uttalanden kan i allmänhet identifieras genom ord såsom "förväntar", "bedömer", "avser", "anser", "uppskattar", "planerar", "kommer att", "kan", "skulle kunna", "potentiell" eller liknande uttryck, även om inte alla framåtblickande uttalanden innehåller sådana ord.

Dessa uttalanden baseras på Bolagets nuvarande förväntningar, antaganden och bedömningar per dagen för detta pressmeddelande och är föremål för risker, osäkerhetsfaktorer och andra omständigheter som kan medföra att faktiska resultat avviker väsentligt från dem som uttryckligen eller underförstått anges i uttalandena. Sådana faktorer omfattar, men är inte begränsade till, risker relaterade till den kommersiella lanseringen av och marknadsacceptansen för Emcitate i USA, Bolagets förmåga att etablera och upprätthålla en ändamålsenlig kommersiell infrastruktur, inklusive distributions-, patientstöds- och ersättningslösningar, tidpunkten för och villkoren för en eventuell monetisering av Priority Review Voucher, vilken är beroende av marknadsförhållanden och tillgången på intresserade köpare, eventuella krav eller begränsningar efter marknadsgodkännande som kan komma att införas av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA, Bolagets förmåga att upprätthålla regulatoriska godkännanden i USA och Europeiska unionen, konkurrens från befintliga eller framtida behandlingar, Bolagets möjlighet att säkerställa tillräcklig finansiering för sin verksamhet och sina kommersiella aktiviteter samt allmänna ekonomiska, marknadsmässiga och affärsmässiga förhållanden.

För en närmare beskrivning av risker och osäkerhetsfaktorer som kan påverka Bolagets verksamhet och resultat hänvisas till Bolagets senaste årsredovisning samt övriga handlingar som getts in till relevanta tillsynsmyndigheter och som finns tillgängliga på www.egetis.com.

Bolaget åtar sig inte någon skyldighet att offentligt uppdatera eller revidera framåtblickande uttalanden, vare sig till följd av ny information, framtida händelser eller av andra skäl, annat än vad som följer av tillämplig lag eller regelverk.

Bifogade filer

[Tiratricol beviljas sällskemedelsstatus för MCT8-brist i Japan](#)