

Egetis erhåller positivt utlåtande av den europeiska läkemedelsmyndigheten gällande sär läkemedelsstatus för Aladote® för förebyggande av akut leversvikt

Stockholm, 13 juli 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att kommittén för sär läkemedelsstatus (COMP) vid europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har gett ett positivt utlåtande om sär läkemedelsstatus för Aladote (calmangafodipir) för förebyggande av akut leversvikt, ett livshotande tillstånd.

Aladote är en s.k. "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för behandling av paracetamolförgiftning tillsammans med N-acetylcystein (NAC) för att förebygga akut leversvikt. En "proof of principle"-studie har framgångsrikt avslutats och utformningen av en registreringsgrundande fas IIb/III-studie med syfte att ansöka om marknads godkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med den amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA), EMA och Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA, Storbritannien) och studiestart förväntas ske senare under 2022.

Det positiva utlåtandet från EMA om ansökan för sär läkemedelsstatus för Aladote följer den redan beviljade sär läkemedelsstatus för Aladote för behandling av paracetamol överdos som erhöles av FDA under 2019.

Nicklas Westerholm, VD på Egetis Therapeutics, sade: "Vi är mycket glada att erhålla ett positivt utlåtande från EMA gällande sär läkemedelsstatus för Aladote för förebyggande av akut leversvikt. Det finns ett betydande medicinskt behov för de ungefär 25% av patienterna som når sjukhus mer än åtta timmar efter paracetamol förgiftning. Dessa har en ökad risk för akut leversvikt och behöver ytterligare behandlingsmöjligheter utöver NAC. Vi ser fram emot att påbörja vår registreringsgrundande fas IIb/III studie med Aladote senare under 2022."

N-acetylcystein (NAC) är den nuvarande behandlingen som används vid paracetamolförgiftning. Den har bäst effekt om den ges inom åtta timmar från förgiftningstillfället. För patienter som anländer efter åtta timmar till sjukhus, och för de som har tagit en stor överdos, finns det ett betydande behov av effektivare behandlingsalternativ. De kliniska resultaten från en slutförd "proof of principle" studie visar att Aladote i kombination med NAC har potentialen att förebygga akut leversvikt i den specificerade patientpopulationen.

I EU ges sär läkemedelsstatus till produkter som behandlar, förebygger eller diagnostiserar en sjukdom som är livshotande eller kroniskt försvagande och som drabbar mindre än 5 av 10 000 människor i hela EU. Produkter i utveckling som erhåller sär läkemedelsstatus i EU drar nytta av protokollhjälp, en typ av vetenskaplig rådgivning specifik för sär läkemedel, befrielse eller nedsättning av vissa avgifter samt tioårig marknads exklusivitet när läkemedlet väl är på marknaden. Den Europeiska Kommissionen ansvarar för att bevilja sär läkemedelsstatus, på basen av ett positivt utlåtande från EMA. För mer information om sär läkemedel i EU, se www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview

För ytterligare information, vänligen kontakta:

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

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

Emcitate är en 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 serum T3-halter och kliniskt relevanta sekundära effektmått. Som ett resultat av gynnsamma diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att lämna in en ansökan om marknads­godkännande för *Emcitate* till EMA under första halvåret 2023, baserat på befintliga kliniska data.

I USA kommer Egetis efter dialog med FDA att genomföra en mindre bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att lämna in en NDA i USA för *Emcitate* i mitten av 2023 under den 'Fast Track Designation' som beviljats av FDA.

Triac Trial II är en fullt rekryterad studie på mycket unga patienter med MCT8-brist (<30 månader gamla) som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate*. Rekryteringsmålet på 16 patienter uppnåddes i början av april 2022. Resultat förväntas under första kvartalet 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknads­godkännande erhållits.

Emcitate har sär­läkemedelsstatus ('orphan drug designation', ODD) i USA och EU för MCT8-brist och RTH-#. I USA har *Emcitate* även beviljats Rare Pediatric Disease-status (RPD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknads­godkännande.

Aladote är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklats 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 med syfte att ansöka om marknads­godkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA, Storbritannien) och studiestart förväntas ske senare under 2022. *Aladote* har beviljats ODD i USA och ett positivt utlåtande gällande ODD i EU. Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se www.egetis.com.

Bifogade filer

[Egetis erhåller positivt utlåtande av den europeiska läkemedelsmyndigheten gällande sär­läkemedelsstatus för Aladote® för förebyggande av akut leversvikt](#)
