

## EU-kommissionen godkänner Egetis Emcitate® (tiratricol) som den första och enda behandlingen för patienter med MCT8-brist

**Stockholm den 13 februari 2025** – Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att Europeiska kommissionen (EC) har godkänt Emcitate® (tiratricol) för behandling av patienter med monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist. Emcitate är det första och enda godkända läkemedlet i EU för behandling av MCT8-brist. Den fullständiga indikationen lyder: Emcitate är avsedd för behandling, från födseln, av perifer tyreotoxikos hos patienter med brist på monokarboxylattransportör 8 (MCT8) (Allan-Herndon-Dudley syndrom).

**Nicklas Westerholm, VD för Egetis, kommenterar:** "Vi är mycket stolta över EU-kommissionens godkännande av Emcitate, som innebär den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist. Detta godkännande representerar den enskilt viktigaste milstolpen i Egetis historia, och är ett stort steg framåt i vår ambition att bygga ett hållbart sÄrläkemedelsbolag och framför allt är vi glada att kunna erbjuda denna nya viktiga behandling till patienter.

"Jag vill tacka alla patienter, föräldrar, vårdgivare och prövare som har deltagit i det omfattande utvecklingsprogrammet för Emcitate, samt alla Egetis medarbetare och samarbetspartners för deras hårda arbete. Ett särskilt tack riktas till Professor Edward Visser och hans team vid Erasmus University Medical Center i Rotterdam, Nederländerna.

"Vi ser nu fram emot att inleda pris- och ersättningsförhandlingar i Europa och förväntar oss den första lanseringen under det andra kvartalet 2025."

MCT8-brist är en sällsynt, kronisk och allvarligt funktionsnedsättande sjukdom som främst drabbar pojkar och orsakas av mutationer i genen som kodar för MCT8-proteinet, en transportör för sköldkörtelhormon. MCT8-brist förhindrar sköldkörtelhormoner från att komma in i hjärncellerna, vilket resulterar i brist på sköldkörtelhormon i hjärnan med försämrad hjärnutveckling och svår intellektuell och motorisk funktionsnedsättning som följd. Patienterna kan sällan sitta självständigt och de flesta kan inte hålla upp huvudet själva.

Samtidigt sker en ansamling av sköldkörtelhormoner i andra delar av kroppen, vilket orsakar perifer tyreotoxikos, vilket visar sig i symptom som t.ex. hjärtklappning, låg kroppsvikt, muskelsvaghet och sömnsvårigheter.

Godkännandet av Emcitate baseras huvudsakligen på Triac Trial I (clinicaltrials.gov identifier NCT02060474, Groeneweg et al. 2019), och stöds av en kohortstudie från Erasmus University Medical Center (van Geest et al. 2022) och preliminära resultat från Triac Trial II (NCT0239645).

Triac Trial I var en enarmad, öppen studie där barn och vuxna behandlades med en individuellt anpassad dos av tiratricol i upp till 12 månader. Resultaten visade att Emcitate reducerade den genomsnittliga serum-T3-koncentrationen med mer än 63 % efter 12 månader. Alla patienter uppvisade förbättringar i minst en av studiens effektmått: kroppsvikt, vilopuls eller systoliskt blodtryck.

De vanligaste biverkningarna av Emcitate var överdriven svettning, irritabilitet, ångest och mardrömmar. Dessa reaktioner uppstod oftast i början av behandlingen eller vid dosökning, och försvann vanligen under behandlingens gång.

Beslutet från EU-kommissionen följer en positiv rekommendation från den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP) den 12 december 2024. EU-godkännandet gäller för samtliga 27 medlemsstater i EU samt Island, Norge och Liechtenstein. Emcitate beviljades säräkemedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) 2017 och denna status bekräftades nyligen av EMA:s kommitté för säräkemedel (COMP).

1. Groeneweg et al. 2019 Lancet Diabetes Endocrinol. 7(9):695-706.
2. van Geest et al. 2022 J Clin Endocrinol Metab. 107(3):e1136–e1147

**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  
+44 (0) 7500 525 084  
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 2025-02-13 15:25 CET.*

## 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.

Den 13 februari 2025 godkände EU-kommissionen *Emcitate*<sup>®</sup> (tiratricol) som den första och enda behandlingen för patienter med MCT8-brist

Bolagets ledande läkemedelskandidat tiratricol (*Emcitate*<sup>®</sup>) utvecklas som den första godkända 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. I juni 2024 presenterades topline-resultat från fas 2 studien Triac Trial II med tiratricol för behandling av MCT8-brist. Studien undersökte en möjlig ytterligare behandlingseffekt på neurokognitiv utveckling hos små barn yngre än 30 månader med MCT8-brist. Studien uppvisade inte statistiskt signifikant förbättring jämfört med historiska kontroller.

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.

*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. I UK har *Emcitate* erhållit Promising Innovative Medicine (PIM) status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Calmangafodipir (*Aladote*<sup>®</sup>) 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. Utvecklingsprogrammet för calmangafodipir har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för tiratricol för MCT8-brist har fullbordats. Calmangafodipir 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

---

[EU-kommissionen godkänner Egetis \*Emcitate\*<sup>®</sup> \(tiratricol\) som den första och enda behandlingen för patienter med MCT8-brist](#)