

Egetis erhåller Breakthrough Therapy Designation från FDA för tiratricol för behandling av MCT8-brist

Stockholm den 15 juli 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har beviljat Breakthrough Therapy Designation för tiratricol för behandling av monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist.

Breakthrough Therapy Designation är ett förfarande som syftar till att påskynda utveckling och granskning av läkemedel som är avsedda att behandla ett allvarligt tillstånd och där preliminära kliniska data visar att läkemedlet kan ge en väsentlig förbättring jämfört med tillgängliga behandlingar på ett kliniskt signifikant mått.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis, kommenterade:

"Att tiratricol tilldelas Breakthrough Therapy Designation av FDA understryker både det akuta behovet av en effektiv behandling för patienter med MCT8-brist och de kliniskt meningsfulla resultat som hittills har påvisats med tiratricol. Vi ser fram emot att påskynda utvecklingen och den regulatoriska processen för tiratricol så snabbt som möjligt, för att kunna erbjuda denna potentiella behandling till patienter i USA.

"Som nästa steg har FDA begärt att Egetis skickar in en begäran om ett så kallat Type B-möte. Detta möte kommer att vara ett multidisciplinärt och heltäckande samtal kring utvecklingsprogrammet för tiratricol."

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

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 2025-07-15 08:00 CEST.

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas för kommersialisering inom sällsynta 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 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 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 erhåller Breakthrough Therapy Designation från FDA för tiratricol för behandling av MCT8-brist](#)