

European Thyroid Association rekommenderar tiratricol (Emcitate®) som långtidsbehandling för alla patienter med MCT8-brist i nya behandlingsriktlinjer

Stockholm, Sverige, 17 juli 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att European Thyroid Association (ETA) har publicerat nya riktlinjer som rekommenderar tiratricol (TRIAC eller Emcitate®) som långtidsbehandling för alla patienter med MCT8-brist och för vissa patienter med sköldkörtelhormonresistens typ beta (RTH-beta), som närmare beskrivs i riktlinjerna.

Det finns för närvarande ingen godkänd behandling för MCT8-brist eller RTH-beta. Egetis har erhållit sär läkemedelsstatus för tiratricol för behandling av MCT8-brist och RTH-beta i EU och USA, och har skickat in en ansökan om marknads godkännande till den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA, vilken för närvarande utvärderar ansökan.

Dessa första riktlinjer från European Thyroid Association 2024 om diagnos och behandling av genetiska störningar i sköldkörtelhormontransport, metabolism och verkan beställdes av ETAs verkställande kommitté och utvecklades av ett oberoende expertteam. Riktlinjerna kan nås här:

<https://etj.bioscientifica.com/view/journals/etj/aop/etj-24-0125/etj-24-0125.xml>

Nicklas Westerholm, VD för Egetis Therapeutics, kommenterade: "MCT8-brist är en förödande sjukdom med betydande ouppfyllda medicinska behov. Det är verkligen uppmuntrande att notera att European Thyroid Association rekommenderar tiratricol (Emcitate®) som långtidsbehandling för alla patienter med MCT8-brist. Vår ansökan om marknads godkännande i EU för tiratricol för behandling av MCT8-brist lämnades in i oktober 2023 och vi ser fram emot att kunna erbjuda den första potentiella godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist."

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

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® (tiratricol) är Bolagets ledande 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 sköldkörtelhormon T3-halter i serum och kliniskt relevanta sekundära effektmått. Egetis ansökte om marknadsgodkännande för *Emcitate* till den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 utvärderbara patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis kommer att uppdatera marknaden så snart rekryteringen har slutförts, och vid det tillfället informera om när topline resultat förväntas och när NDA-ansökan därav kan förväntas lämnas in.

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.

Aladote® 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. Studiestart planeras efter att ansökningarna om marknadsgodkännande för *Emcitate* har fullbordats. *Aladote* har beviljats ODD i USA och EU.

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

Bifogade filer

[European Thyroid Association rekommenderar tiratricol \(Emcitate®\) som långtidsbehandling för alla patienter med MCT8-brist i nya behandlingsriktlinjer](#)