

Egetis ansöker om marknadsgodkännande för Emcitate för behandling av MCT8-brist hos den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA

- Ansökan är baserad på effektdata från två studier innehållande sammanlagt 86 patienter med MCT8-brist med behandling med Emcitate upp till 6 år
- Totalt har över 500 patientår ackumulerats vid behandling av MCT8-brist med Emcitate
- Om Emcitate godkänns skulle det bli den första behandlingen av MCT8-brist

Stockholm den 9 oktober 2023. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att Bolaget har ansökt om marknadsgodkännande (MAA) för Emcitate (tiratricol) för behandling av MCT8-brist till den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Detta är ett viktigt steg för att tillhandahålla den första godkända behandlingen mot MCT8-brist till patienter och en transformativ milstolpe för Bolaget.

Enligt överenskommelse med EMA är MAA-ansökan baserad på resultaten från Triac Trial I studien (Groeneweg et al. 2019), som visade statistiskt signifikanta och kliniskt relevanta behandlingseffekter av sjukdomen, inklusive minskning av sköldkörtelhormonet T3 i serum, samt förbättringar av kroppsvikt, hjärtfrekvens och blodtryck. Ansökan stöds av 'real world' data som samlats in i en studie där patienter behandlades med Emcitate i upp till sex år (van Geest et al. 2022).

Nicklas Westerholm, Egetis VD, kommenterade: "MCT8-brist är en mycket allvarlig och sällsynt sjukdom utan någon godkänd behandling. Vi är glada över att ha nått denna transformativa milstolpe för Bolaget på vår väg mot att tillhandahålla den första godkända behandlingen för patienter som lider av MCT8-brist. Vi ser fram emot att samarbeta med EMA angående vår ansökan."

Emcitate har beviljats sär-läkemedelsstatus (Orphan Drug Designation) av EMA för MCT8-brist och kommer, efter godkännande av Europeiska kommissionen, vara berättigad till 10 års marknadsexklusivitet inom EU. Den genomsnittliga granskningstiden för ansökningar om marknadsgodkännande inom EU är cirka 13-14 månader.

För ansökan om marknadsgodkännande i USA genomför Egetis, enligt överenskommelse med FDA, en randomiserad, placebokontrollerad registreringsgrundande studie (ReTRIACt) med 16 patienter för att verifiera sänkningen av sköldkörtelhormonet T3 som setts i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Studien började rekrytera patienter i juli i år och patientrekryteringen fortskrider enligt plan. Resultat från studien förväntas under första halvan av 2024, och Egetis avser att ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för Emcitate i mitten av 2024, under Fast-Track Designation som beviljats av FDA.

Utöver de pågående kliniska prövningarna med Emcitate behandlas för närvarande mer än 180 patienter i över 25 länder med Emcitate som en del av Bolagets 'Managed Access' program.

Länkar till kliniska studier:

[Triac Trial I](#)

[ReTRIACt](#)

Referenser:

Groeneweg, S. et al. Lancet Diabetes Endocrinol. 2019; 7(9):695-706

Van Geest, F.S. et al. J. Clin. Endocrinol. Metab. 2022; 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
+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 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 EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA har Egetis påbörjat en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att ansöka om marknads­godkännande (NDA) i USA för *Emcitate* under mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

Emcitate har sär­läkemedelsstatus ('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 sär­läkemedelsstatus (ODD) i USA och EU.

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

Bifogade filer

[Egetis ansöker om marknads­godkännande för *Emcitate* för behandling av MCT8-brist hos den europeiska läkemedels­myndigheten EMA](#)