

Egetis tillkännager att rekryteringsmålet har uppnåtts i Triac Trial II studien med *Emcitate*®

Stockholm, 6 april 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att rekryteringsmålet om 16 patienter har uppnåtts i Triac Trial II studien med *Emcitate*® (tiratricol) på patienter med MCT8-brist.

Triac Trial II (clinicaltrials.gov identifieringskod NCT02396459) är en pågående internationell, öppen, multicenterstudie på barn med MCT8-brist. Studien utförs i Europa och Nordamerika och undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate* hos mycket unga patienter (<30 månader gamla). Den första patienten doserades i december 2020. Det primära effektmåttet är två olika skalor för bedömning och uppföljning av neurokognitiv utveckling hos barn (GMFM-88 och BSID-III), som analyseras efter 96 veckors behandling med *Emcitate*. I studien utvärderas även om patienterna uppnår vissa specifika motoriska milstolpar såsom att hålla upp huvudet och sitta självständigt, samt effekten på kliniska och biokemiska aspekter av tyreotoxikos.

Rekryteringsmålet om 16 patienter har uppnåtts i Triac Trial II studien, men för att inkludera ytterligare patienter som har identifierats men inte ännu screenats kommer studien att vara öppen för rekrytering under några veckor till. Resultat från Triac Trial II förväntas under första kvartalet 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknadsgodkännande erhållits.

Data från prekliniska studier tyder på att *Emcitate* återställer onormal neurologisk utveckling och myelinisering i djurmodeller för MCT8-brist om den ges i ett tidigt skede efter födseln. I Triac Trial I studien tittade man även explorativt på neurokognitiv utveckling (i en undergrupp av patienter) och dessa resultat tyder på att *Emcitate* kan påverka neurokognitiv utveckling när behandlingen påbörjas tidigt. Den största ökningen i grovmotorisk funktion noterades hos patienter där behandlingen påbörjades före 4 års ålder.

Nicklas Westerholm, VD, kommenterade: *”Vi är mycket glada över att ha nått denna viktiga rekryteringsmilstolpe för Triac Trial II. Även om Triac Trial II studien inte krävs för regulatoriska godkännanden för *Emcitate* är det fortfarande en viktig studie för att fastställa effekterna på neurologisk utveckling av tidig behandling med *Emcitate*. Vi vill tacka deltagande familjer, studiepersonal och prövare för att de deltar i Triac Trial II.”*

Som ett resultat av gynnsamma diskussioner med den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) avser Egetis att ansöka 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 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* i mitten av 2023 under den Fast Track Designation som beviljats av FDA. I USA har *Emcitate* även beviljats Rare Pediatric Disease-status (RPD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV).

För mer information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD

Tel. +46 (0) 733 542 062

nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations and Communications

Tel. +46 (0) 733 011 944

karl.hard@egetis.com

Om Egetis Therapeutics AB

Egetis Therapeutics 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 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 ansöka 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 ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate* i mitten av 2023 under den Fast Track Designation som beviljats av FDA. Triac Trial II är en pågående studie på mycket unga patienter med MCT8-brist (<30 månader gamla) som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med *Emcitate*. Resultat förväntas under första kvartalet 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknadsgodkännande erhållits.

Emcitate har sällsynt läkemedelsstatus (ODD) i USA och EU för MCT8-brist och för sköldkörtelhormonresistens typ beta (RTH-#) i USA. Egetis har erhållit ett positivt utlåtande från EMA om ODD för RTH-# och förväntas få ODD beviljat av den Europeiska Kommissionen. I USA har *Emcitate* även beviljats Rare Pediatric Disease-status (RPD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV) i USA.

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 MHRA (Storbritannien). *Aladote* har beviljats ODD i USA och en ansökan om ODD lämnades in i Europa under första kvartalet 2021. Egetis har en pågående dialog med EMA om lämplig utformning av indikationen för ODD i EU.

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

Bifogade filer

[Egetis tillkännager att rekryteringsmålet har uppnåtts i Triac Trial II studien med Emcitate®](#)