

## PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB  
Stockholm, 24 februari 2022

## Egetis Therapeutics ber om kramar för att öka sjukdomsmedvetenheten om MCT8-brist

Stockholm, 24 februari 2022 - Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) lanserar idag #MCT8Hugs – ett globalt online-initiativ för att öka medvetenheten om MCT8-brist.

MCT8-brist är en sällsynt och livsförkortande genetisk sjukdom som orsakar kritiska konsekvenser som allvarligt nedsatt neurokognitiv utveckling och motorisk funktion. Hos de flesta av de drabbade resulterar detta i en oförmåga att behålla huvudkontroll, sitta på egen hand och gå. Dessutom är MCT8-brist associerad med ett tillstånd av kronisk tyreotoxikos som manifesteras i allvarlig undervikt, muskelförtvining och kardiovaskulära avvikelser. Sjukdomen drabbar endast män och de första symtomen dyker vanligtvis upp inom de första månaderna efter födseln. Även om den är sällsynt, finns det ett universellt behov av att förbättra igenkännandet, förståelsen och diagnostiseringen av denna förödande sjukdom.

I slutet av 2021 lanserade Egetis initiativ för att öka medvetenheten om sjukdomen, inklusive den globala Cuddly Toy-kampanjen för att öka medvetenheten om MCT8-brist bland vårdpersonal och stötta diagnostisering. Denna effektiva kampanj innehåller en serie gosedjur med lutande huvuden, synonymt med drabbade pojkars oförmåga att hålla upp huvudet. Kampanjen inkluderar ett antal annonser samt webbplatsen [www.mct8deficiency.com](http://www.mct8deficiency.com) och blev nyligen nominerad till det prestigefyllda 2022 Pharmaceutical Marketing Society Awards i London, <https://pmsociety.org.uk/about-the-pm-society/>.



# EGETIS THERAPEUTICS

Egetis Therapeutics ber nu alla att ställa sig bakom denna kampanj genom att dela en selfie med sina favoritgosedjur. #MCT8Hugs kommer att finnas på alla sociala medieplattformar med särskild tonvikt på Rare Disease Day (28 februari 2022), Thyroid Day (25 maj 2022) och World MCT8-AHDS Day (8 oktober 2022). "Vi skulle vilja skapa en liten online-rörelse för att hjälpa till att öka medvetenheten om MCT8-brist, stötta diagnostisering och förbättra situationen för de drabbade familjerna", säger Henrik Krook, VP Commercial Operations, Egetis Therapeutics. "Snälla, ägna några minuter åt att engagera er i och dela den här selfie-kampanjen eftersom den verkligen kan hjälpa till att driva ett allvarligt budskap om en förödande sjukdom som för närvarande inte är tillräckligt uppmärksammat", fortsatte han.

## **För ytterligare information, kontakta:**

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

E-post: [nicklas.westerholm@egetis.com](mailto:nicklas.westerholm@egetis.com)

Karl Hård, Head of Investor Relations & Communications

Tel. +46 (0) 73 301 19 44

E-post: [karl.hard@egetis.com](mailto:karl.hard@egetis.com)

*Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2022-02-24, 09:00 CET.*

## **Om Egetis Therapeutics**

*Egetis Therapeutics är ett innovativt och integrerat läkemedelsutvecklingsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sär 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 prövarinitierad kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på serum T3 halter och sekundära kliniska effektvariabler. 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. Egetis avser att lämna in en ansökan om marknads godkännande för Emcitate till den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA under första halvåret 2023 baserat på befintliga kliniska data. Som ett resultat av gynnsamma diskussioner med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA kommer Egetis att genomföra en randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att lämna in en ansökan om marknads godkännande (NDA) i USA för Emcitate i mitten av 2023 under Fast Track Designation som beviljades av FDA. Emcitate har sär läkemedelsstatus i USA och Europa. Emcitate har beviljats Rare Pediatric Disease-status i USA. Aladote är en "first-in-class" läkemedelskandidat som utvecklas för att reducera 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 marknads godkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA (Storbritannien). Aladote har beviljats sär läkemedelsstatus (ODD) i USA och förväntas vara berättigad till en sär läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickades in under det första kvartalet 2021. Egetis har en pågående dialog med EMA om lämplig indikation för ODD i EU.*

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

# EGETIS THERAPEUTICS

## **Om MCT8-brist**

*MCT8-brist är en ovanlig sjukdom som drabbar 1 av 70 000 män med betydande medicinskt behov där det idag inte finns någon behandling. Sköldkörtelhormoner är essentiella för utveckling och kontroll av metabolismen i de flesta typer av vävnader, vilket kräver transport över cellmembran. En av nyckeltransportörerna av sköldkörtelhormon i kroppen över cellmembran är MCT8 (monokarboxylattransportör 8). Mutationer i genen för MCT8, som sitter på X-kromosomen, leder till MCT8-brist, även kallat Allan Herndon Dudley Syndrome (AHDS), vilket enbart drabbar män. MCT8-brist leder till problem med transport av sköldkörtelhormon till olika typer av celler inklusive hjärnan och dess nervceller samt sköldkörtelhormonrubbningar. Avsaknad av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet leder till kraftigt påverkad neurokognitiv utveckling och funktionsnedsättning. De ökade nivåerna av cirkulerande sköldkörtelhormon är skadligt för andra organ som hjärta, muskler, lever och njurar vilket leder till kraftigt nedsatt kroppsvikt, kardiovaskulär påverkan, sömnbrist och muskelbrist. De flesta patienter med MCT8-brist uppnår inte basala motoriska färdigheter såsom att hålla sitt eget huvud eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist.*