

PRESS RELEASE

Egetis Therapeutics AB

Stockholm, Sverige, 24 mars, 2022

Egetis erhåller positivt utlåtande från EMA om sär­läkemedelsstatus för *Emcitate* för behandling av sköldkörtelhormonresistens typ beta (RTH-β)

Stockholm, Sverige, 24 mars 2022. Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att kommittén för sär­läkemedelsstatus (COMP) vid europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har gett ett positivt utlåtande om sär­läkemedelsstatus för bolagets ledande läkemedelskandidat *Emcitate* (tiratricol) för behandling av sköldkörtelhormonresistens typ beta (Resistance to Thyroid Hormone type beta, RTH-β). RTH-β är en ytterligare indikation, utan överlapp i patientpopulationerna, till den tidigare erhållna sär­läkemedelsstatusen för MCT8-brist.

Emcitate är Egetis ledande läkemedelskandidat och är i fas III klinisk utveckling med planerade ansökningar om marknadsgodkännande för behandling av MCT8-brist i USA och Europa 2023. Det positiva utlåtandet från EMA om ansökan för sär­läkemedelsstatus för RTH-β kommer efter att Food and Drug Administration (FDA) i USA nyligen beviljade sär­läkemedelsstatus för RTH-β. Den Europeiska Kommissionen ansvarar för att bevilja sär­läkemedelsstatus, på basen av det positiva utlåtandet från EMA.

RTH-β är en ovanlig, medfödd genetisk sjukdom som orsakas av mutationer i den ena av kroppens två typer av sköldkörtelhormonreceptorer och leder till nedsatt sköldkörtelhormonsignallering i vävnader som är beroende av sköldkörtelhormonreceptor beta. De kliniska manifestationerna av RTH-β inbegriper en blandning av symptom av tyreotoxikos och hypotyreos i olika vävnader, såsom struma, fettlever, blodfetterubbningsar, nedsatt hörsel och färgseende, neurokognitiva funktionsstörningar och kardiovaskulär stress. Incidensen uppskattas till mellan 1 per 20.000-40.000 nyfödda. Det finns i dagsläget ingen godkänd behandling för de patienter som lider av RTH-β.

*“Vi är mycket glada att erhålla ett positivt utlåtande från EMA för sär­läkemedelsstatus för en ytterligare indikation för *Emcitate*, utöver MCT8-brist. RTH-β är en distinkt sjukdom men besläktad med MCT8-brist och utgör en potentiell indikationsexpansion till sköldkörtelhormonresistens typ beta som kan utöka antalet patienter som kan behandlas med *Emcitate*. Tillsammans med den nyligen erhållna ODD för RTH-β som beviljats av FDA i USA, kommer vi fortsätta att utvärdera utvecklingen av *Emcitate* mot marknadsgodkännande också för denna sjukdom, vilket kan utöka värdet och förlänga marknadsexklusiviteten för *Emcitate*.” sade Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.*

Emcitate har tidigare beviljats sär­läkemedelsstatus (ODD) i såväl EU som USA för behandling av MCT8-brist och beviljades nyligen ODD för RTH-β av FDA. *Emcitate* erhöll Rare Pediatric Disease Designation (RPD) i november 2020 och så kallad Fast Track status i oktober 2021 från FDA.

I EU ges sär­läkemedelsstatus till produkter som behandlar, förebygger eller diagnostiserar en sjukdom som är livshotande eller kroniskt försvagande och som drabbar mindre än 5 av 10 000 människor i hela EU. Sponsorer som erhåller sär­läkemedelsstatus i EU drar nytta av protokollhjälp, en typ av vetenskaplig rådgivning specifik för sär­läkemedel, befrielse eller nedsättning av vissa avgifter samt tioårig marknadsexklusivitet när läkemedlet väl är på marknaden. För mer information om sär­läkemedel i EU, se www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview

EGETIS THERAPEUTICS

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 sköldkörtelhormonresistens typ beta

Resistance to Thyroid Hormone type beta (RTH- β) är en ovanlig medfödd genetisk sjukdom med stort medicinskt behov och ingen godkänd behandling, som drabbar 1 av 20 000–40 000 individer. Sköldkörtelhormon är essentiellt för normal utveckling och reglering av ämnesomsättningen i princip alla vävnader och utövar sin effekt genom att binda till en nukleär receptor, vilket resulterar i uttryck av hormonresponsiva gener. Det finns två typer av sköldkörtelhormonreceptorer i kroppen (alpha och beta), som uttrycks preferentiellt i olika vävnader. RTH- β orsakas av mutationer i genen för sköldkörtelhormonreceptor beta och leder till nedsatt sköldkörtelhormonsignallering i vävnader som är beroende av denna receptor. De kliniska manifestationerna av RTH- β inbegriper en blandning av symptom av tyreotoxikos och hypotyreos i olika vävnader, såsom struma, fettlever, blodfetsrubbingar, nedsatt hörsel och färgseende, neurokognitiva funktionsstörningar och kardiovaskulär stress. RTH- β drabbar båda könen lika och uppvisar normal ett så kallat autosomt dominant nedärvningsmönster. Homozygosa mutationer är extremt ovanliga men ger mycket uttalade symptom som ofta leder till att drabbade patienter avlider redan tidigt under barndomen.

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics 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.

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 sällsynta läkemedelsstatus (ODD) i USA för MCT8-brist och RTH-beta och i Europa för MCT8-brist. I USA har Emcitate även beviljats Rare Pediatric Disease-status (RPD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV) i USA.

EGETIS THERAPEUTICS

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 indikation för ODD i EU.

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