

Egetis erhåller "Promising Innovative Medicine" status i Storbritannien för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist

Stockholm den 3 juni 2024. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att den brittiska läkemedelsmyndigheten (MHRA) har beviljat "Promising Innovative Medicine" (PIM) status för Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratricol) för behandling av monocarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist.

Nicklas Westerholm, Egetis VD, kommenterade: "Promising Innovative Medicine-status är ett erkännande av den brittiska läkemedelsmyndigheten (MHRA) att Emcitate® (tiratricol) är en lovande läkemedelskandidat för behandling av patienter med MCT8-brist. MCT8-brist är en allvarlig sjukdom, och vi är glada att MHRA har beviljat PIM-status för Emcitate® (tiratricol). Detta är ett bevis på vårt engagemang för att stödja patienter med MCT8-brist i Storbritannien."

Om Promising Innovative Medicine status

Promising Innovative Medicine (PIM) status ges till lovande läkemedelskandidater som sannolikt erbjuder stora fördelar för behandling, diagnostik eller förebyggande av livshotande eller allvarligt försvagande tillstånd med potential att möta ett ouppfyllt medicinskt behov. För att MHRA ska ge PIM-status måste produkten uppfylla vart och ett av följande tre kriterier:

Kriterium 1: Tillstånden bör vara livshotande eller allvarligt försvagande med stort ouppfyllt behov, vilket innebär att det inte finns någon tillgänglig behandling, diagnostik eller att befintliga metoder har allvarliga begränsningar.

Kriterium 2: Den medicinska produkten erbjuder sannolikt stora fördelar jämfört med metoder som för närvarande används i Storbritannien. Preliminära bevis ska lämnas in baserat på både icke-kliniska och kliniska data.

Kriterium 3: De potentiella biverkningarna av den medicinska produkten övervägs sannolikt av fördelarna, vilket möjliggör en rimlig förväntning om en positiv nytta-riskbalans.

Om MCT8-brist

Monocarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist, även kallad Allan-Herndon-Dudley syndrom, är en ultra-sällsynt X-kopplad genetisk sjukdom. År 2004 upptäcktes att den grundläggande mekanismen som driver patogenesisen av MCT8-brist är dysfunktion av sköldkörtelhormontransportören MCT8, på grund av mutationer i SLC16A2-genen, som kodar för MCT8. MCT8 har en viktig roll i att reglera sköldkörtelhormonnivåer, inklusive cellulärt upptag och utflöde av trijodtyronin (T3) och tyroxin (T4). MCT8 har också en viktig roll i transporten av sköldkörtelhormon över blod-hjärnbarriären och uttrycks också brett i andra vävnader, såsom i sköldkörteln, lever, njurar, hjärta och muskler. Denna störda sköldkörtelhormonhomeostas leder till neurologiska och endokrinologiska symptom. De neurologiska symptomen är en följd av för lite T3 i hjärnan, medan de endokrinologiska symptomen beror på förhöjt T3 i andra organ utanför hjärnan. Föräldrar till barn med MCT8-brist rapporterar vanligtvis att graviditeten och födseln var normala, och spädbarn verkar utvecklas som förväntat under de första månaderna av livet. Tidiga tecken, såsom otillräcklig huvudkontroll på grund av hypotoni och misslyckande med att frodas kan börja visa sig från ungefär tre månaders ålder, men det tar vanligtvis några månader till innan medicinsk hjälp söks. Att känna igen symptom och ställa en tidig diagnos kan hjälpa patienter och deras familjer. För mer information om MCT8-brist, vänligen se www.mct8deficiency.com

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 sällrökemedelsområdet 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 sällrökemedelsstatus ('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

[Egetis erhåller "Promising Innovative Medicine" status i Storbritannien för Emcitate® \(tiratricol\) för behandling av MCT8-brist](#)
