

Egetis beviljas löpande NDA-granskning av FDA för Emcitate® (tiratricol) baserat på redan tillgängliga kliniska data

Egetis har haft ett framgångsrikt pre-NDA-möte med FDA, med följande slutsatser:

- Enligt överenskommelse med FDA kommer en löpande ('rolling') NDA-ansökan att påbörjas i december 2025, med målet att en fullständig NDA ska lämnas in i början av 2026 så att FDA:s granskningsprocess kan slutföras under Q3 2026, om Priority Review beviljas
- NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist kommer att baseras på redan tillgängliga kliniska data
- ReTRIAct-studien kommer att avslutas och de data som samlats in hittills kommer att inkluderas i NDAn

Egetis kommer att hålla en webcast idag kl. 10.00 CEST. Ytterligare information hittas i slutet av detta pressmeddelande.

Stockholm, Sverige, 23 oktober 2025. Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (NASDAQ Stockholm: EGTX) tillkännagav idag att Bolaget i oktober 2025 har haft ett framgångsrikt pre-New Drug Application (NDA)-möte med den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA, för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist. Syftet med mötet var att få FDA:s råd och en överenskommelse om det övergripande innehållet i en kommande NDA-ansökan, med särskilt fokus på den kliniska datan.

Bolaget har kommit överens med FDA om att lämna in en löpande NDA för Emcitate® (tiratricol), med start i december 2025, med målet att NDA-ansökan ska vara slutförd i början av 2026 så att FDA:s granskningsprocess ska slutföras under det tredje kvartalet 2026, om Priority Review beviljas. Eftersom Emcitate® (tiratricol) har Breakthrough Therapy Designation kommer Egetis att begära en Priority Review. Godkännande av NDA för inlämning är föremål för FDA:s granskning av hela ansökan.

Pre-NDA-mötet hölls mot bakgrund av Breakthrough Therapy Designation som beviljades i juli 2025, baserat på FDA:s granskning av Egetis analys av överlevnadsdata från den internationella kohortstudien som genomförts av Erasmus University Medical Center (EMC Survival Study).

Baserat på feedback från FDA kommer NDA-ansökan för Emcitate® (tiratricol) för behandling av MCT8-brist att baseras på redan tillgängliga kliniska data från Triac Trial I, Triac Trial II, ReTRIAct, EMC Cohort Study, EMC Survival Study och det amerikanska Expanded Access-programmet. Enligt FDAs rekommendation kommer den statistiska analysplanen (SAP) för ReTRIAct-studien att revideras och studien kommer att avslutas. Topplinerresultat kommer att kommuniceras under det fjärde kvartalet 2025. De data som samlats in hittills kommer att inkluderas i NDA.

Nicklas Westerholm, vd för Egetis, kommenterade:

"Vi är mycket uppmuntrade efter vår senaste dialog med FDA om Emcitate® (tiratricol) och uppskattar myndighetens samarbetsanda i vårt arbete för att leverera den första behandlingen till patienter med MCT8-brist så effektivt som möjligt i USA. Med tanke på FDA:s feedback planerar vi att påbörja en löpande NDA för Emcitate® (tiratricol) i december 2025 med målet att NDA-ansökan ska vara komplett i början av 2026 och att FDA:s granskningsprocess slutförs under Q3 2026, om Priority Review beviljas.

"Jag vill också tacka alla patienter, familjer och provare som deltagit i utvecklingen av Emcitate® (tiratricol), samt professor Edward Visser och hans team vid Erasmus University Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, för vårt långvariga och fruktbara samarbete."

Information om webcast:

Om du önskar delta via webcasten gå in på nedan länk. Via webcasten finns möjlighet att ställa skriftliga frågor.

<https://egetis.events.inderes.com/webcast-23-october-2025/register>

Om du önskar ställa muntliga frågor via telefonkonferens registrerar du dig via länken nedan. Efter registreringen får du telefonnummer och ett konferens-ID för att logga in till konferensen. Via telefonkonferensen finns möjlighet att ställa muntliga frågor.

<https://events.inderes.com/egetis/webcast-23-october-2025/dial-in>

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

Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics är skyldigt att offentliggöra enligt EU:s marknadsmissbruksförordning. Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersoners försorg, för offentliggörande den 2025-10-23 08:00 CEST.

Om MCT8-brist

MCT8-brist är en mycket sällsynt sjukdom 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 syndrom (AHDS), vilket främst 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.

EU-kommissionen har godkänt Emcitate® (tiratricol) för behandling, från födseln, av perifer tyreotoxikos hos patienter med brist på monokarboxylattransportör 8 (MCT8) (Allan-Herndon-Dudley syndrom). Emcitate® (tiratricol) är inte godkänd i USA.

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.

Bolagets ledande läkemedelskandidat Emcitate® (tiratrikol) utvecklas som den första och enda godkända behandlingen för patienter med MCT8-brist, en sällsynt sjukdom med ett stort medicinskt behov. Egetis erhöi marknadsgodkännande för Emcitate® i EU i februari 2025 som den första och enda behandlingen för MCT8-brist. Egetis inledde lanseringen av Emcitate® i Tyskland den 1 maj 2025.

Efter en dialog med FDA genomför Egetis en randomiserad, placebokontrollerad utsättningsstudie för att tillhandahålla evidens för T3-normalisering med korrelation till ett kliniskt meningsfullt utfall. Bolaget planerar att påbörja NDA ansökan för tiratrikol under 2025.

Tiratrikol 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 Breakthrough Therapy Designation och Rare Pediatric Disease Designation (RPDD), vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande. I UK har Emcitate erhållit Promising Innovative Medicine status av den brittiska läkemedelsmyndigheten MHRA.

Aladote® (calmangafodipir) 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 2/3 studie, Albatross, med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna i USA, EU och Storbritannien. Utvecklingsprogrammet för Aladote® har parkerats tills ansökningarna om marknadsgodkännande för Emcitate® för MCT8-brist har fullbordats. Aladote® har beviljats ODD i USA och EU.

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

Bifogade filer

[Egetis beviljas löpande NDA-granskning av FDA för Emcitate® \(tiratricol\) baserat på redan tillgängliga kliniska data](#)