

Egetis Therapeutics påbörjar lanseringen av EMCITATE® i USA för patienter med MCT8-brist

- EMCITATE är den första och enda FDA-godkända behandlingen för perifer tyreotoxikos hos vuxna och pediatrika patienter med MCT8-brist i USA
- Egetis RareLink™, det dedikerade patientstödsprogrammet, erbjuder stöd kring tillgång till behandling, utbildning och vårdkoordinering i samarbete med PANTHERx® Rare Pharmacy

Stockholm den 27 oktober 2026 – Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX), ett kommersiellt läkemedelsbolag med fokus på att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar, meddelade idag att EMCITATE® (tiratricol) nu är kommersiellt tillgängligt i USA, tidigare än förväntat efter godkännandet från den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA (US Food and Drug Administration) den 28 september 2026.

EMCITATE är godkänt för behandling av perifer tyreotoxikos hos vuxna och pediatrika patienter med MCT8-brist, även känd som Allan-Herndon-Dudleys syndrom. Det är den första och enda FDA-godkända behandlingen för MCT8-brist i USA. EMCITATE rekommenderas inte för behandling av primär hypotyreos.

"Att lansera EMCITATE i USA tidigare än vår tidplan markerar en viktig milstolpe för personer som lever med MCT8-brist, deras familjer och alla som har arbetat för att göra en godkänd behandling tillgänglig för denna patientgrupp", säger Nicklas Westerholm, vd för Egetis Therapeutics. "Efter FDA-godkännandet fokuserar vi nu på att bygga vidare på detta momentum och hjälpa patienter att få tillgång till behandling så snabbt som möjligt. Vi är fortsatt djupt engagerade i dem som lider av MCT8-brist och tacksamma för det stöd vi får från patienter, familjer, kliniker, prövare och patientorganisationer".

MCT8-brist är en sällsynt, allvarlig, livsbegränsande, X-kromosombunden sjukdom som orsakas av sjukdomsframkallande mutationer i SLC16A2-genen. Dessa mutationer försämrar funktionen hos MCT8, ett viktigt transportprotein på cellmembranet som ansvarar för transport av sköldkörtelhormon i vissa celler, inklusive i hjärnan. Den störda signaleringen av sköldkörtelhormon leder till svår neurologisk funktionsnedsättning och ihållande perifer tyreotoxikos. Patienter med MCT8-brist har en rapporterad medianlivslängd på cirka 35 år.

Som stöd för lanseringen i USA har Egetis etablerat Egetis RareLink, bolagets dedikerade patientstödsprogram, i samarbete med PANTHERx Rare Pharmacy. Programmet är utformat för att hjälpa berättigade patienter, vårdgivare och hälso- och sjukvårdspersonal att navigera frågor kring läkemedelstillgång, utbildning, vårdkoordinering och löpande behandlingsstöd.

Genom Egetis RareLink avser Bolaget att erbjuda personligt stöd och hjälpa berättigade patienter att få tillgång till EMCITATE®. Patienter och vårdgivare kan få mer information genom att ringa 1-844-4EGETIS (1-844-434-3847) eller besöka [EMCITATE.com](https://www.emcitate.com).

Om EMCITATE®

EMCITATE (tiratricol) är en agonist till sköldkörtelhormonreceptorn och är godkänd för behandling av perifer tyreotoxikos hos vuxna och pediatrika patienter med MCT8-brist, även kallad Allan-Herndon-Dudleys syndrom.

Om MCT8-brist

MCT8-brist, även känd som Allan-Herndon-Dudleys syndrom (AHDS), är en sällsynt, allvarlig och livsförkortande X-kromosombunden sjukdom som orsakas av sjukdomsframkallande mutationer i SLC16A2-genen. Dessa mutationer försämrar funktionen hos MCT8, en viktig transportör på cellernas yta som ansvarar för transport av sköldkörtelhormon i vissa celler, inklusive i hjärnan. Som en följd av detta får patienterna en störd signalering av sköldkörtelhormon, kännetecknad av otillräcklig

aktivitet av sköldkörtelhormon i det centrala nervsystemet och överexponering för det aktiva sköldkörtelhormonet trijodtyronin (T3) i perifera vävnader. Detta leder till en komplex sjukdomsbild som präglas av svår neurologisk utvecklingsstörning och kvarstående perifer tyreotoxikos.

De förhöjda T3-nivåerna i perifera vävnader kan orsaka ett kroniskt hypermetaboliskt tillstånd som påverkar flera organ, inklusive hjärta, muskler, lever och njurar. Kliniska manifestationer kan omfatta otillräcklig tillväxt, kardiovaskulär belastning, muskelförtvining, metabol obalans samt ökad mottaglighet för infektioner. Dessa systemiska konsekvenser av ihållande tyreotoxikos anses bidra väsentligt till den ökade sjukligheten och den förkortade livslängden som är förknippad med sjukdomen. Patienter med MCT8-brist har en rapporterad medianlivslängd på cirka 35 år.

För mer information om MCT8-brist, besök [MCT8deficiency.com](https://mct8deficiency.com) eller [LifewithMCT8deficiency.com](https://lifewithmct8deficiency.com).

Important Safety Information

BOXED WARNING: NOT FOR TREATMENT OF OBESITY OR FOR WEIGHT LOSS

Contraindications: EMCITATE is contraindicated in patients with primary hyperthyroidism.

Warnings and precautions

Thyrotoxicosis: Signs and symptoms of thyrotoxicosis, including increased heart rate, elevated blood pressure, diarrhea, hyperhidrosis, irritability, insomnia and nightmares, have occurred during treatment initiation and dose titration. Monitor patients and adjust the EMCITATE dose as indicated.

Laboratory test interference for T3 measurement: Tiratricol can cross-react with immunoassays for T3, leading to unreliable T3 results and overestimation of T3.

Adverse reactions: The most common adverse reactions ($\geq 5\%$) are diarrhea, vomiting, rash and hyperhidrosis.

To report suspected adverse reactions, contact Egetis Therapeutics US Inc. at 1-844-4EGETIS (1-844-434-3847) or the FDA at 1-800-FDA-1088 or www.fda.gov/medwatch.

Please see the full Prescribing Information: <https://www.egetis.com/wp-content/uploads/emcitate-full-prescribing-information.pdf>

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett läkemedelsbolag i kommersiell fas med fokus på att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar för patienter med sällsynta sjukdomar där det finns betydande medicinska behov.

Genom att kombinera vetenskaplig och klinisk expertis med integrerade kompetenser inom sen klinisk utveckling, regulatoriska processer, kommersialisering och tillverkning är Egetis engagerat i att tillhandahålla behandlingar och dedikerat stöd till patientgrupper med stora medicinska behov och begränsade behandlingsalternativ. Bolagets ledande produkt, EMCITATE® (tiratricol), är den första och enda godkända behandlingen för MCT8-brist, en sällsynt och livsförkortande genetisk sjukdom, med marknadsgodkännande i EU och i USA.

Med huvudkontor i Stockholm och verksamhet i USA och Europa bygger Egetis ett hållbart globalt läkemedelsbolag inom sällsynta sjukdomar. För mer information, besök www.egetis.com och följ Bolaget på LinkedIn.

About PANTHERx Rare

PANTHERx Rare makes rare disease care more personalized and less overwhelming by focusing on each patient and each therapy. PANTHERx experts develop relationships with patients, prescribers and pharmaceutical partners, serving as trusted advocates to

support collaboration and care. Founded in Pittsburgh, Pennsylvania, in 2011, PANTHERx has grown into the largest independent rare pharmacy in the U.S. PANTHERx is licensed in all 50 states and U.S. territories and was the first national pharmacy to achieve dual rare disease accreditations from the Accreditation Commission for Health Care (ACHC) and the Utilization Review Accreditation Commission (URAC). PANTHERx received the 2026 MMIT Patient Choice Award for patient satisfaction, marking its ninth win.

För mer information, besök www.pantherxrare.com.

För mer information, vänligen kontakta

Nicklas Westerholm, CEO

+46 (0) 733 542 062

nicklas.westerholm@egetis.com

Karl Hård, Head of Investor Relations, Communications & Business Development

+46 (0) 733 011 944

karl.hard@egetis.com

Framåtblickande uttalanden

Detta pressmeddelande innehåller framåtblickande uttalanden i den mening som avses i tillämplig värdepapperslagstiftning, inklusive uttalanden avseende kommersialiseringen och tillgängligheten av Emcitate® (tiratricol) i USA, tidpunkten för och utfallet av en eventuell monetisering av Priority Review Voucher för sällsynta pediatrika sjukdomar (Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher), den förväntade kapaciteten i Bolagets infrastruktur för patientåtkomst och distribution, de förväntade fördelarna med Emcitate för patienter med MCT8-brist samt Bolagets övergripande strategiska planer för utveckling och kommersialisering av behandlingar för sällsynta sjukdomar. Framåtblickande uttalanden kan i allmänhet identifieras genom ord såsom "förväntar", "bedömer", "avser", "anser", "uppskattar", "planerar", "kommer att", "kan", "skulle kunna", "potentiell" eller liknande uttryck, även om inte alla framåtblickande uttalanden innehåller sådana ord.

Dessa uttalanden baseras på Bolagets nuvarande förväntningar, antaganden och bedömningar per dagen för detta pressmeddelande och är föremål för risker, osäkerhetsfaktorer och andra omständigheter som kan medföra att faktiska resultat avviker väsentligt från dem som uttryckligen eller underförstått anges i uttalandena. Sådana faktorer omfattar, men är inte begränsade till, risker relaterade till den kommersiella lanseringen av och marknadsacceptansen för Emcitate i USA, Bolagets förmåga att etablera och upprätthålla en ändamålsenlig kommersiell infrastruktur, inklusive distributions-, patientstöds- och ersättningslösningar, tidpunkten för och villkoren för en eventuell monetisering av Priority Review Voucher, vilken är beroende av marknadsförhållanden och tillgången på intresserade köpare, eventuella krav eller begränsningar efter marknadsgodkännande som kan komma att införas av den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA, Bolagets förmåga att upprätthålla regulatoriska godkännanden i USA och Europeiska unionen, konkurrens från befintliga eller framtida behandlingar, Bolagets möjlighet att säkerställa tillräcklig finansiering för sin verksamhet och sina kommersiella aktiviteter samt allmänna ekonomiska, marknadsmässiga och affärsmässiga förhållanden.

För en närmare beskrivning av risker och osäkerhetsfaktorer som kan påverka Bolagets verksamhet och resultat hänvisas till Bolagets senaste årsredovisning samt övriga handlingar som getts in till relevanta tillsynsmyndigheter och som finns tillgängliga på www.egetis.com.

Bolaget åtar sig inte någon skyldighet att offentligt uppdatera eller revidera framåtblickande uttalanden, vare sig till följd av ny information, framtida händelser eller av andra skäl, annat än vad som följer av tillämplig lag eller regelverk.



PRESSMEDDELANDE

27 oktober 2026 14:00:00 CET

Bifogade filer

[Egetis Therapeutics påbörjar lanseringen av EMCITATE® i USA för patienter med MCT8-brist](#)