

PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB

Stockholm, 9 september 2021

Egetis får godkännande i Turkiet för Compassionate Use-förskrivning av Emcitate® mot MCT8-brist

Egetis Therapeutics AB (publ) (ticker: EGTX) tillkännagav idag att de har fått godkännande från den turkiska läkemedelsmyndigheten för förskrivning under ett Compassionate Use Program (CUP) för sin ledande läkemedelskandidat Emcitate vid behandling av den sällsynta genetiska sjukdomen MCT8-brist.

Compassionate use program och licensförskrivning är mekanismer för att möjliggöra tidig användning av ett läkemedel före ett regulatoriskt marknadsgodkännande, vilka beviljas läkemedel under utveckling mot tillstånd där det finns stora medicinska behov och saknas tillgängliga behandlingsalternativ.

Compassionate use program, däribland det aktuella turkiska exemplet, måste genomgå en detaljerad granskningsprocess av den berörda nationella läkemedelsmyndigheten för att bli godkända. CUP initieras av läkemedelsföretag och ger tillgång till förskrivning för en grupp patienter i ett visst land, när den behandlande läkaren bedömer det lämpligt.

Utanför Turkiet tillhandahålls Emcitate redan via licensförskrivning, efter individuellt godkännande från de nationella regulatoriska myndigheterna, till mer än 120 patienter i över 20 länder.

”Jag är glad att vi nu har en lösning på plats för att kunna tillhandahålla detta lovande läkemedel till patienter med MCT8-brist även i Turkiet under ett CUP. Godkännandet från den turkiska läkemedelsmyndigheten är ytterligare ett viktigt steg mot vårt mål att säkra tillgång till Emcitate för MCT8 -patienter över hela världen, och bekräftar också det stora medicinska behovet och intresset av att använda Emcitate för behandling av patienter som lider av MCT8-brist”, säger Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

Email: nicklas.westerholm@egetis.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2021-09-09, 08:00 CET.

EGETIS THERAPEUTICS

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett innovativt, unikt och integrerat läkemedelsutvecklingsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sällsynt 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 har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat. En registreringsgrundande studie (fas IIb/III) startades i december 2020 då första patient doserades och interimresultat förväntas under 2022. Emcitate har sällsynt läkemedels-status i USA och Europa och beviljades Rare Pediatric Disease-status i USA i november 2020. 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 marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sällsynt läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sällsynt läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista, sedan 31 oktober 2019. För mer information, se www.egetis.com.

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.