

PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB
Stockholm, 8 oktober 2021

Egetis Therapeutics erhåller FDA Fast Track Designation för Emcitate® mot MCT8-brist

Egetis Therapeutics AB (publ) (ticker: EGTX) tillkännagav idag att amerikanska läkemedelsmyndigheten Food and Drug Administration (FDA) har beviljat s k Fast Track Designation för företagets ledande läkemedelskandidat Emcitate®, för närvarande i en registreringsgrundandestudie, för behandling av den sällsynta genetiska sjukdomen MCT8-brist.

FDA:s Fast Track-process är utformat för att underlätta utvecklingen och påskynda granskningen av nya läkemedel som adresserar ett stort medicinskt behov och är avsedda att behandla allvarliga eller livshotande tillstånd så att patienterna får tillgång till nya viktiga läkemedel tidigare. Fast Track-status ger företagen tidigare och mer frekvent kommunikation med FDA för att förbättra effektiviteten i utvecklingen av det undersökta läkemedlet och ge behörighet för prioriterad granskning om vissa kriterier uppfylls.

“Denna Fast Track Designation är ett erkännande från FDA om vikten av Emcitate för att ta itu med det stora medicinska behovet vid MCT8 -brist och i slutändan hjälpa dessa patienter som lider av denna sällsynta och förödande sjukdom. Dessa patienter har idag inga behandlingsalternativ. En Fast Track Designation gör det möjligt att påskynda både inlämnandet av en NDA-ansökan och FDA:s granskning, därmed möjliggöra ett tidigare marknads godkännande av Emcitate” säger Nicklas Westerholm, VD för Egetis Therapeutics.

En första klinisk prövning på patienter i alla åldrar som lider av MCT8 -brist har avslutats med betydande och kliniskt relevanta resultat. En registreringsgrundande klinisk prövning med tidigt insatt behandling hos mycket unga drabbade barn med MCT8-brist pågår. Patientrekryteringen går enligt plan och förväntas vara klar under fjärde kvartalet 2021. Emcitate har erhållit sär läkemedelsstatus i både EU och i USA. En s k US Rare Pediatric Disease-status beviljades i november 2020, vilket potentiellt berättigar till en Priority Review Voucher.

För ytterligare information, vänligen kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics
Tel. +46 (0)73 354 20 62
Epost: nicklas.westerholm@egetis.com

Informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2021-10-08, 08:00 CET.

Om Egetis Therapeutics

Egetis Therapeutics är ett innovativt, unikt och integrerat läkemedelsutvecklingsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas inom sär 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 sär läkemedelsstatus 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

EGETIS THERAPEUTICS

om marknadsgodkännande i USA och EU har finaliserats efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna FDA, EMA och MHRA. Aladote har beviljats sär-läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sär-läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se <http://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.