

PRESSMEDDELANDE

Egetis Therapeutics AB
Stockholm, 18 januari 2022

Egetis drar slutsatsen att en behandlingseffekt på T3-nivåer hos patienter med MCT8-brist kan utgöra grund för marknadsgodkännande av Emcitate® i USA

- Emcitate® (tiratricol) är den första potentiella behandlingen av MCT8-brist, en sällsynt genetisk sjukdom med stort medicinskt behov och utan tillgänglig behandling.
- I positiva myndighetsinteraktioner bekräftar FDA att en behandlingseffekt på T3-nivåer och kronisk tyreotoxikos vid MCT8-brist skulle kunna utgöra grunden för marknadsgodkännande även i USA.
- En NDA (New Drug Application) i USA planeras att lämnas in i mitten av 2023 under produktens Fast Track Designation
- En liten, 30-dagars, placebo-kontrollerad studie i behandlade patienter kommer genomföras för att i en randomiserad studie verifiera de resultat på T3-nivåer som tidigare observerats i kliniska studier och publikationer. 16 patienter kommer identifieras genom bolagets program för licensförskrivning och compassionate use och inkluderas i studien.
- Det här är ett stort steg mot en marknadsansökan och ökar sannolikheten för Emcitate att erhålla marknadsgodkännande och därmed möjligheten att erhålla en sk US rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV).
- Egetis håller en telefonkonferens idag kl. 15:00 CET.

Stockholm, 18 januari 2022 - Egetis Therapeutics AB (publ) (Nasdaq Stockholm: EGTX) ("Bolaget") tillkännagav i dag att man efter positiva interaktioner med den amerikanska läkemedelsmyndigheten Food and Drug Administration (FDA) drar slutsatsen att en behandlingseffekt på T3-nivåer och symptom av kronisk tyreotoxikos vid MCT8-brist skulle kunna utgöra grunden för marknadsgodkännande även i USA. Således har bolaget nu en enhetlig regulatorisk väg framåt för produkten i både EU och USA. Bolaget avser att lämna in en ansökan om marknadsgodkännande, en s k New Drug Application (NDA), för Emcitate® i USA under mitten av 2023 för behandling av monokarboxylattransportör 8 (MCT8)-brist baserat på produktens Fast Track Designation som beviljades av FDA i oktober 2021. Detta följer Egetis tillkännagivande i december 2021 om sin avsikt att lämna in ansökan om marknadsgodkännande (Marketing Authorisation Application, MAA) för Emcitate till den Europeiska läkemedelsmyndigheten European Medicines Agency (EMA) baserat på befintliga kliniska data på kronisk tyreotoxikos vid MCT8 brist.

Data som påvisar signifikanta och kliniskt relevanta effekter av behandling med Emcitate på T3-nivåer och symptom av kronisk tyreotoxikos vid MCT8-brist finns redan tillgängliga från Triac Trial I (Groeneweg et al. 2019), samt en nyligen publicerad långtidkohortstudie som tittar på behandlingseffekter hos 67 patienter under upp till 6 år (van Geest et al. 2021). För att komplettera de befintliga kliniska data i en kommande NDA i USA kommer en liten, randomiserad, kontrollerad studie på 16 patienter som behandlas med Emcitate att genomföras för att verifiera de resultat på T3-nivåer som tidigare observerats i Triac Trial I och i den nyligen publicerade kohortstudien. Patienterna kommer att randomiseras till fortsatt behandling med Emcitate eller placebo i upp till 30 dagar eller till den tidpunkt då T3-nivån överstiger övre referensgränsen för normalvärde (ULN). Det primära

EGETIS THERAPEUTICS

effektmaßtet i studien är andelen av patienterna vars T3-nivå överstiger övre referensgränsen under den randomiserade behandlingsperioden.

“Dagens besked ökar sannolikheten för att Emcitate ska bli den första behandlingen för MCT8-brist, en sällsynt genetisk sjukdom med stora medicinska behov och möjligheten att därmed erhålla en Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher (PRV) i USA vid godkännande av en NDA. Vi har nu kommit överens med FDA om att genomföra en liten studie där behandlade patienter randomiseras till att fortsätta behandlingen med Emcitate eller få placebo i upp till 30 dagar för att verifiera tidigare resultat på T3-nivåer i en kontrollerad studiemiljö. Det är väletablerat att T3-nivåerna hos obehandlade MCT8-patienter är tydligt förhöjda och vi har tidigare visat att Emcitate snabbt och varaktigt kan normalisera dessa nivåer. Vårt befintliga program för licensförskrivning och compassionate use av Emcitate kommer att utgöra den primära källan för patientrekrytering. Vi siktar på att lämna in en ansökan om marknadsgodkännande under mitten av 2023 under den Fast-Track designation som Emcitate erhållit. Detta är en betydande möjlighet för Egetis och patienterna i USA som lider av MCT8-brist.” säger Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics.

Mot bakgrund av den reviderade regulatoriska strategin för ansökan om marknadsgodkännande i USA och EU (vilket tidigare kommunicerats) pågår ett arbete för att bekräfta det övriga innehållet i den regulatoriska dossiern. Uppdaterade tidslinjer för marknadsansökningar globalt kommer tillkännages under första halvan av 2022.

Den pågående studien Triac Trial II kommer att fortsätta för att ytterligare befästa de neurokognitiva effekterna av tidigt insatt behandling med Emcitate, vilka sågs redan i Triac Trial I. Med hänsyn taget till möjligheten att gå vidare med ansökan om marknadsgodkännande i både EU och USA utan att invänta data från Triac Trial II, och efter diskussioner med regulatoriska myndigheter, kommer inte längre någon interimanalys att genomföras vid 48 veckor. Statistisk analys kommer endast genomföras efter att hela 96 veckors-behandlingen är slutförd, vilket kommer göra studieresultaten mer robusta. Resultat förväntas under första kvartalet 2024 och planeras att skickas in till regulatoriska myndigheter efter att marknadsgodkännande erhållits.

Emcitate innehar sällskapsmedelsstatus (Orphan Drug Designation, ODD) i både EU och USA och beviljades Rare Pediatric Disease Designation (RPD) i november 2020 och Fast Track-status i oktober 2021 av amerikanska FDA.

Egetis arrangerar en telefonkonferens i dag kl 15.00 CET. Inringningsdetaljer och länkar finns nedan:

Webblänk

<https://tv.streamfabriken.com/egetis-therapeutics-presskonferens>

För att delta i telefonkonferensen vänligen använd följande nummer:

SE: +46 856642651

UK: +44 3333000804

US: +1 6319131422

Pinkod

58317375#

Om de kliniska studierna med Emcitate

Resultat från Triac Trial I (clinicaltrials.gov identifier NCT02060474) som publicerades i *Lancet Diabetes & Endocrinology* 2019 (Groeneweg et al. 2019), visar på kliniskt relevanta och mycket signifikanta resultat på serum T3-koncentrationer och sekundära kliniska effektmått efter ett års behandling med Emcitate hos 46 patienter med MCT8-brist i alla åldrar. De kliniska data som publicerades i *Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism* i oktober 2021 (van Geest et al. 2021) kommer från den prövarinitierade kohortstudien vid 33 kliniker utförd av Erasmus Medical Center, Rotterdam, Nederländerna, där effekten och säkerheten hos Emcitate undersöktes hos 67 patienter med MCT8-brist som behandlats med Emcitate i upp till sex år. Det primära effektmåttet, medelkoncentrationen av T3 i serum, minskade signifikant från baslinjen till det senaste besöket. Flera kliniskt relevanta och mycket signifikanta förbättringar rapporterades bland sekundära effektmått som täcker viktiga mätningar av kliniska komplikationer av kronisk perifer tyreotoxikos, vilka replikerar resultaten från Triac Trial I

EGETIS THERAPEUTICS

och bekräftar den långsiktiga varaktigheten av behandlingseffekterna. Inga läkemedelsrelaterade allvarliga biverkningar rapporterades.

Triac Trial II (clinicaltrials.gov identifier NCT02396459) är en pågående internationell, öppen, multicenterstudie på barn med MCT8-brist, som utförs i både Europa och Nordamerika och som undersöker neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate hos mycket unga patienter (<30 månader gamla). Den första patienten doserades i december 2020 och rekryteringen fortskrider väl och förväntas slutföras under första kvartalet 2022. Resultat förväntas under första kvartalet 2024.

Referenser:

van Geest et al. *J Clin Endocrinol Metab* 2021 <https://doi.org/10.1210/clinem/dgab750>

Groeneweg et al. *Lancet Diabetes Endocrinol* 2019;7(9):695-706

För ytterligare information, kontakta:

Nicklas Westerholm, VD, Egetis Therapeutics

Tel. +46 (0)73 354 20 62

E-post: nicklas.westerholm@egetis.com

Denna information är sådan information som Egetis Therapeutics AB är skyldigt att offentliggöra i enlighet med EU:s marknadsmissbruksförordning. I informationen lämnades, genom ovanstående kontaktpersons försorg, för offentliggörande den 2022-01-18, 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. Triac Trial I (klinisk fas IIb-studie) samt en prävarianterad kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på T3-nivåer och sekundära kliniska effektmått. Triac Trial II är en pågående studie i mycket unga patienter (<30 månader gamla) med MCT8-brist för att ytterligare befästa neurokognitiva effekter av tidig intervention med Emcitate, vilka sågs redan i Triac Trial I. Resultat förväntas under första kvartalet 2024. Emcitate har sär-läkemedelsstatus i USA och Europa. Emcitate har beviljats Rare Pediatric Disease-status och Fast Track Designation i USA. 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 sär-läkemedelsstatus i USA och förväntas vara berättigad till en sär-läkemedelsstatus i EU, för vilken en ansökan skickats in under Q1 2021. Egetis har en pågående dialog med EMA om lämplig indikation för ODD i EU.

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

EGETIS THERAPEUTICS

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 upp sitt eget huvud eller sitta. I dagsläget finns inget godkänt läkemedel för MCT8-brist och medianöverlevnaden är endast 35 år.