

## Egetis ingår exklusivt licensavtal med Fujimoto för att utveckla och kommersialisera Emcitate i Japan

**Stockholm, 10 november 2023.** Egetis Therapeutics AB (publ) ("Egetis" eller "Bolaget") (Nasdaq Stockholm: EGTX) meddelade idag att Bolaget, genom sitt helägda dotterbolag Rare Thyroid Therapeutics International AB, har ingått ett exklusivt licensavtal med Fujimoto Pharmaceutical Corporation ("Fujimoto") för att utveckla och kommersialisera *Emcitate* (tiratricol) i Japan. Enligt avtalets villkor ges Fujimoto exklusiva rättigheter för utveckling och kommersialisering av *Emcitate* för behandling av MCT8-brist i Japan. Fujimoto kommer att betala signerings-, utvecklings- och regulatoriska milstolpar om totalt JPY 600 miljoner (ungefär SEK 45 miljoner). Egetis kommer att leverera produkten i bulk och erhålla ungefär en tredjedel av försäljningsintäkterna från Fujimoto. Fujimoto kommer också att finansiera det utvecklingsprogram som krävs för *Emcitate* i Japan, vilket kommer att klargöras efter diskussioner med 'Pharmaceuticals and Medical Devices Agency' (PMDA). Som framtida innehavare av försäljningstillstånd (MAH) kommer Fujimoto att ansvara för de regulatoriska interaktionerna med PMDA. Som tidigare kommunicerats avser Egetis att kommersialisera *Emcitate* med egen organisation i USA och Europa och söka partnerskap på andra marknader. Detta är det första sådana partnerskapet som ingås, drivet av det förväntade behovet av en lokal klinisk prövning i Japan innan ansökan om marknadsgodkännande kan inlämnas. Dessutom finns det ett betydande medicinskt behov att behandla patienter med MCT8-brist i Japan. Utöver de pågående kliniska prövningarna med *Emcitate*, behandlas redan cirka 190 patienter i över 25 länder runt om i världen med *Emcitate* som en del av Egetis 'Managed Access'-program. Trots att ett betydande antal patienter med MCT8-brist har diagnostiserats i Japan, omfattas för närvarande ingen av dessa patienter av Managed Access programmet. Iwayama et al. (Ref. 1) har granskat litteraturen om MCT8-brist i Japan och identifierat 36 redan publicerade fall. Kubota et al. (Ref. 2) har i sin tur genomfört en nationell undersökning av MCT8-brist och uppskattar att det finns över 60 fall av sjukdomen i Japan, trots att denna undersökning främst ställde frågor till barnsjukhus och inte undersökte vuxenavdelningar.

**Nicklas Westerholm, Egetis VD, kommenterade:** "Vi är glada över att ingå detta partnerskap med Fujimoto för att kunna erbjuda en behandling för MCT8-brist till patienter även i Japan, där det finns ett betydande medicinskt behov som idag inte kan tillgodoses. Fujimoto är en idealisk partner för utveckling, regulatoriska interaktioner och kommersialisering av *Emcitate* i Japan, med sin långa erfarenhet av att erbjuda nya läkemedel till patienter i Japan."

**Mr. Masaya Fujimoto, Koncernchef på Fujimoto, kommenterade:** "Vi har en lång erfarenhet av att lansera läkemedel för CNS-sjukdomar, blodsjukdomar och sällsynta sjukdomar i Japan. Vi är glada över att ha beviljats exklusiva rättigheter av Egetis för utveckling och kommersialisering av *Emcitate*, en läkemedelskandidat för MCT8-brist. Genom att dra nytta av våra tidigare erfarenheter kommer vi fortsätta samarbeta med Egetis och arbeta målmedvetet för att erhålla marknadsgodkännande så att *Emcitate* når patienter i Japan så snart som möjligt."

Den 9 oktober 2023 meddelade Egetis att man har lämnat in ansökan om marknadsgodkännande för *Emcitate* för behandling av MCT8-brist till den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA. *Emcitate* har beviljats särlekemedelsstatus av EMA för MCT8-brist och kommer, om det godkänns av Europeiska kommissionen, vara berättigat till 10 års marknadsexklusivitet inom EU.

Enligt överenskommelse med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie (ReTRIAct) med 16 utvärderbara patienter för att bekräfta resultaten från tidigare kliniska prövningar och publikationer avseende normalisering av sköldkörtelhormon T3-nivåer inför ansökan om marknadsgodkännande i USA. ReTRIAct-studien påbörjades i juni och resultat förväntas under första halvåret 2024. Som tidigare kommunicerats möjliggör det här påbörjan av NDA-inlämning ("rolling submission") i USA i mitten av 2024 med 'fast track' designation.

## Referenser:

1. Iwayama, H. et al (2021) Regional Difference in Myelination in Monocarboxylate Transporter 8 Deficiency: Case Reports and Literature Review of Cases in Japan. *Front. Neurol.* 12:657820. doi.org/10.3389/fneur.2021.657820
2. Kubota, M. et al. (2022) A nationwide survey of monocarboxylate transporter 8 deficiency in Japan: Its incidence, clinical course, MRI and laboratory findings. *Brain Development* 44:699-705. doi.org/10.1016/j.braindev.2022.07.007

Länk till [www.clinicaltrials.com](http://www.clinicaltrials.com):

[ReTRIACt](#)

**För ytterligare information, vänligen kontakta:**

---

Nicklas Westerholm, VD  
+46 (0) 733 542 062  
[nicklas.westerholm@egetis.com](mailto:nicklas.westerholm@egetis.com)

Karl Hård, Head of Investor Relations & Business Development  
+46 (0) 733 011 944  
[karl.hard@egetis.com](mailto: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 2023-11-10 08:37 CET.*

**Om Egetis Therapeutics AB**

---

Egetis är ett innovativt och integrerat läkemedelsbolag, fokuserat på projekt i sen klinisk utvecklingsfas för kommersialisering inom sällsynta läkemedelsområdet för behandling av allvarliga och sällsynta sjukdomar med betydande medicinska behov.

*Emcitate* är Bolagets ledande 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 (Triac Trial I) samt en kohortstudie har genomförts med signifikanta och kliniskt relevanta behandlingsresultat på sköldkörtelhormon T3-halter i serum och kliniskt relevanta sekundära effektmått. Egetis ansökte om marknadsgodkännande för *Emcitate* till EMA i oktober 2023.

Efter dialog med FDA genomför Egetis en bekräftande randomiserad, placebokontrollerad studie på 16 patienter för att verifiera resultaten på T3-nivåer i tidigare kliniska prövningar och publikationer. Egetis avser att ansöka om marknadsgodkännande (NDA) i USA för *Emcitate* under mitten av 2024 under den 'Fast Track Designation' som FDA beviljat.

*Emcitate* har sällsynt läkemedelsstatus ('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 Rare Pediatric Disease Designation (RPDD) vilket ger Egetis möjligheten att erhålla en Priority Review Voucher (PRV), efter marknadsgodkännande.

*Aladote* 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 II/III-studie, Albatross, med syfte att ansöka om marknadsgodkännande i USA och Europa har slutförts efter diskussioner med läkemedelsmyndigheterna i USA, EU och Storbritannien. Studiestart planeras efter att ansökningarna om marknadsgodkännande för *Emcitate* har fullbordats. *Aladote* har beviljats sällsynt läkemedelsstatus (ODD) i USA och EU.

Egetis Therapeutics (STO: EGTX) är noterad på Nasdaq Stockholms huvudlista. För mer information, se [www.egetis.com](http://www.egetis.com).



PRESSMEDDELANDE

10 november 2023 08:37:00 CET

### Bifogade filer

---

[Egetis ingår exklusivt licensavtal med Fujimoto för att utveckla och kommersialisera Emcitate i Japan](#)